AGENCJA BADAŃ MEDYCZNYCH

II EWALUACJA FORMATYWNA PROJEKTÓW NIEKOMERCYJNYCH BADAŃ KLINICZNYCH 2020

Raport on-going



Warszawa, lipiec 2025

Spis treści

1. GŁÓWNE WNIOSKI I REKOMENDACJE 3
2. METODYKA EWALUACJI 4
2.1. Ewaluowane projekty 5
2.2. Metoda ewaluacji 31
3. EWALUACJA 32
3.1. Planowany czas trwania oraz terminy realizacji projektów 32
3.2. Całkowity planowany czas leczenia pacjentów 35
3.3. Planowana rekrutacja pacjentów 37
3.4. Rejestracja badania klinicznego 39
3.5. Współpraca z ośrodkami badawczymi 40
3.6. Współpraca z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora 45
3.7. Współpraca z jednostkami zarządzającymi badaniem klinicznym 46
3.8. Zmiany w projektach 49
3.9. Rekrutacja pacjentów i przebieg badania klinicznego 51
3.10. Finasowanie projektów 61
3.11. Gospodarowanie finansami projektów 76
3.12. Upowszechnianie i wykorzystanie wyników badań 76
3.13. Prawdopodobieństwo zakończenia projektów w terminie 77
3.14. Współpraca z ABM 79
4. PODSUMOWANIE 80
4.1. Stwierdzone problemy 80
4.2. Środki zaradcze 86
4.3. Wprowadzone rozwiązania 88
5. SPIS WYKRESÓW 89
6. ZAŁĄCZNIK. ANKIETA OCENY PROJEKTU 91

1. Główne wnioski i rekomendacje

W ramach drugiej ewaluacji formatywnej NBK2020 analizowano postępy i problemy w realizacji 25 z 34 projektów z konkursu ABM/2020/1. Proces ewaluacji obejmował kompleksową analizę zmian w okresie kolejnych dwóch lat realizacji projektów. Narzędziem do zbierania informacji była ankieta ilościowa przeprowadzona wśród głównych badaczy.

1	Czas trwania oraz terminy realizacji projektów
	W 7 projektach w krótkim czasie od podpisania umowy o dofinansowanie przesunięte zostały od 1 do 5 miesięcy daty ich rozpoczęcia.
	W 12 projektach ABM pozytywnie rozpatrzyła wnioski o wydłużenie czasu realizacji projektów o okres od 1 do 24 miesięcy (z medianą wynoszącą 18 miesięcy).
2	Całkowity planowany czas leczenia pacjentów
	Między pierwszą a drugą ewaluacją w 7 projektach został skrócony, a w 11 projektach wydłużony całkowity planowany czas leczenia pacjentów. W konsekwencji mediana czasu pracy z pacjentami wydłużyła się z 19 do 24 miesięcy.
3	Planowana rekrutacja pacjentów
	W 6 projektach zwiększono planowaną rekrutację pacjentów (od 25% do 41,7%).
	W 1 projekcie zmniejszono planowaną rekrutację pacjentów (o 20%).
4	Rejestracja badania klinicznego
	Wszystkie projekty otrzymały pozytywne opinie KB oraz zgody URPL na realizację badań.
	Mediana czasu oczekiwania na pozytywną opinię KB liczona od wyznaczonej przez beneficjentów daty rozpoczęcia projektów do dnia otrzymania opinii wyniosła 271 dni kalendarzowe.
	Mediana czasu oczekiwania na zgodę URPL liczona od dnia złożenia wniosków do URPL wyniosła 188 dni kalendarzowych.
	3 projekty oczekiwały na zgodę URPL ponad 365 dni kalendarzowych. Najdłuższy czas oczekiwania na zgodę URPL wyniósł 877 dni kalendarzowych.
5	Liczba ośrodków w projektach
	W 3 projektach zwiększono liczbę ośrodków zadeklarowanych na początku projektu.
	W 1 projekcie zmniejszono liczbę ośrodków zadeklarowanych na początku projektu.

2. Metodyka ewaluacji

W 2020 roku, Agencja Badań Medycznych ogłosiła Konkurs na działalność badawczo – rozwojową w zakresie niekomercyjnych badań klinicznych (ABM/2020/1). Celem konkursu było finansowanie projektów naukowo-badawczych w zakresie niekomercyjnych badań klinicznych (NBK), które mogły dotyczyć:

- produktu leczniczego,
- wyrobu medycznego,
- ATMP (*Advanced Therapy Medicinal Products*) – produktu leczniczego terapii zaawansowanej,
- wypracowania nowych schematów diagnostycznych lub/i interwencyjnych metod leczenia,
- rozwiązań w zakresie medycyny cyfrowej (telemedycyny),
- pojedynczych związków chemicznych, substancji, mieszaniny substancji lub związków złożonych o potencjalnych właściwościach leczniczych i potwierdzonym w fazie przedklinicznej bezpieczeństwie.

Konkurs był zgodny z Planem Rozwoju Badań Klinicznych, w myśl którego działalność Agencji Badań Medycznych ma przyczynić się do wzrostu liczby prowadzonych niekomercyjnych badań klinicznych do poziomu średniej europejskiej. Intencją konkursu było stymulowanie wzrostu innowacyjności polskiego systemu ochrony zdrowia. Jednocześnie konkurs nawiązywał do celów określonych w ramach Narodowej Strategii Onkologicznej wspierającej ideę innowacji w onkologii, w szczególności w aspekcie sfery klinicznej, poprzez zwiększenie skuteczności leczniczej oraz rozwój technologii medycznych. Zgodnie z zapisami Narodowej Strategii Onkologicznej rozwój badań klinicznych, w tym badań niekomercyjnych pozwala na uzyskanie cennych informacji o nowych sposobach diagnozowania i terapii.

Regulamin konkursu tworzony był na podstawie art. 16 ust. 4 ustawy z dnia 21 lutego 2019 r. o Agencji Badań Medycznych (Dz. U. z 2019 r. poz. 447). Maksymalny, dopuszczalny poziom dofinansowania projektu wynosił 100% kosztów projektu. Projekty mogły się rozpocząć nie wcześniej niż 1 czerwca 2020 roku, a maksymalny czas trwania projektu mógł wynosić 6 lat. Agencja rekomendowała, aby rejestracja badania klinicznego będącego przedmiotem dofinansowania nastąpiła najpóźniej 12 miesięcy od rozpoczęcia projektu. Ze względu na duże zainteresowanie środowiska medycznego konkurs został przeprowadzony w systemie rundowym (3 rundy), aby umożliwić płynne składanie wniosków w kilkumiesięcznym okresie.

- Runda I: ocenie podlegały wnioski złożone w terminie: 02.03.2020 r. - 30.04.2020 r.
- Runda II: ocenie podlegały wnioski złożone w terminie: 01.05.2020 r. - 31.08.2020 r.
- Runda III: ocenie podlegały wnioski złożone w terminie: 01.09.2020 r. - 30.10.2020 r.

Początkowa pula środków przeznaczona na finansowanie projektów wynosiła 200 000 000,00 zł, przy czym wartość dofinansowania pojedynczego projektu nie mogła przekroczyć 17 500 000,00 zł. W trakcie przebiegu całego konkursu, ze względu na wysoką wartość merytoryczną wniosków, Prezes Agencji korzystając z prawa zwiększenia kwoty środków finansowych przeznaczonych na konkurs na każdym etapie jego realizacji przy zachowaniu nieprzekraczalnej kwoty środków na program, o którym mowa w art. 15 ust. 1 pkt 1 Ustawy o ABM lub do kwoty przeznaczonej na zadanie, o którym mowa w art. 15 ust. 2 pkt 2 Ustawy o ABM, podejmował decyzję o zwiększeniu alokacji na poszczególne rundy konkursowe i w wyniku powyższych decyzji planowaną alokację zwiększono łącznie do kwoty

375 510 408,20 zł. Główną motywacją do zwiększenia alokacji była wysoka jakość składanych projektów i ich duży poziom innowacyjności. W ramach konkursu podpisano 34 umowy na realizację projektów badawczych:

- 18 projektów uzyskało dofinansowanie w I rundzie,
- 5 projektów w II rundzie,
- 11 projektów w III rundzie.

2.1. Ewaluowane projekty

Prezentowana ewaluacja formatywna jest drugą przeprowadzaną dla projektów, które otrzymały dofinansowanie w konkursie ABM/2020/01. Pierwsza miała miejsce między sierpniem a październikiem 2023, kiedy projekty objęte dofinansowaniem były pomiędzy 34 a 40 miesiącem realizacji od podpisania umowy z ABM. Do czasu przeprowadzenia drugiej ewaluacji 9 projektów zostało zamkniętych, w tym 7 na wniosek Sponsora:

numer projektu	przyczyna zamknięcia projektu
2020/ABM/01/00008	wycofanie pozytywnej opinii KB
2020/ABM/01/00014	brak zgody ABM na istotne zmiany w projekcie po podpisaniu Umowy o Dofinansowanie
2020/ABM/01/00016	wystąpienie ryzyka naukowego
2020/ABM/01/00027	URPL odstąpił od rozpatrzenia wniosku o pozwolenie na badanie kliniczne
2020/ABM/01/00030	brak zgody ABM na istotne zmiany w projekcie po podpisaniu Umowy o Dofinansowanie
2020/ABM/01/00095	badana substancja została wycofana z rynku
2020/ABM/01/00114	osiągnięcie celów projektu szybciej niż zakładano w WoD

Dwa projekty zostały zamknięte na wniosek Agencji ze względu na znikomy postęp zakresu rzeczowego. Były to projekty nr 2020/ABM/01/00009 oraz 2020/ABM/01/00080.

Ostatecznie analizie zostało poddanych 25 projektów będących w trakcie realizacji. Poniżej przedstawione zostały podstawowe informacje o ewaluowanych projektach.

2.1.1. Projekt nr 2020/ABM/01/00001



Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Narodowy Instytut Kardiologii Stefana kardynała Wyszyńskiego – Państwowy Instytut Badawczy wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 11 748 017,10 zł (100% wartości projektu).

Zastosowanie empagliflozyny u pacjentów z kardiomiopatią przerostową.

Założona liczba pacjentów: **250**

Kardiomiopatia przerostowa (ang. *Hypertrophic Cardiomyopathy*, *HCM*) stanowi najczęstszą uwarunkowaną genetycznie chorobę mięśnia sercowego. HCM u części osób charakteryzuje się bezobjawowym przebiegiem. U innych wiąże się z postępującą dysfunkcją rozkurczową lewej komory na skutek przerostu i włóknienia miokardium, doprowadzając do dysfunkcji skurczowej i postępującej niewydolności serca. Aktualnie dla pacjentów z HCM brak jest leczenia hamującego postęp choroby.

Celem projektu jest poszukiwanie rozwiązania terapeutycznego dla schorzenia, dla którego standardowa medycyna nie oferuje satysfakcjonujących rozwiązań. Badaną populacją są dorośli pacjenci z HCM bez istotnego hemodynamicznie zawężania drogi odpływu lewej komory, w tym część przypadków zaliczana do chorób rzadkich. Proponowaną interwencją jest podawanie empagliflozyny w dawce 10 mg/d przez okres 12 miesięcy. Empagliflozyna jest zarejestrowana do stosowania u dorosłych w leczeniu cukrzycy typu 2. Projekt badawczy dotyczy zastosowania leku poza wskazaniami rejestracyjnymi, które obejmują stosowanie leku w nowym wskazaniu, co do którego istnieją naukowe podstawy pozwalające oczekiwać, iż będzie ono skuteczne i bezpieczne. Pacjenci są randomizowani w podwójnym zaślepieniu do grupy empagliflozyny lub placebo. Pierwotnym punktem końcowym badania jest zmiana szczytowego pochłaniania tlenu (VO_{2max}) mierzonego w badaniu ergospirometrycznym. VO_{2max} stanowi obiektywny wskaźnik wydolności fizycznej i jest oceniane wyjściowo i po 12 miesiącach od randomizacji. Dodatkowymi punktami końcowymi są zmiany: maksymalnej grubości ściany lewej komory, masy lewej komory, parametrów dysfunkcji rozkurczowej, stopnia nasilenia włóknienia miokardium oraz poprawy jego energetyki.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **2**

Planowane efekty: wobec przewidywanego korzystnego wpływu terapii empagliflozyną przy dobrym profilu bezpieczeństwa, należy się spodziewać, że leczenie pacjentów z HCM wpłynie na poprawę ich wydolności fizycznej oraz umożliwi regresję przerostu lewej komory. Pacjenci z uzyskaną poprawą wydolności fizycznej będą funkcjonować w systemie ochrony zdrowia jako osoby w lepszym stanie ogólnym, rzadziej wymagające konsultacji i badań lekarskich.

2.1.2. Projekt nr 2020/ABM/01/00002

Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Narodowy Instytut Kardiologii Stefana kardynała Wyszyńskiego – Państwowy Instytut Badawczy wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 12 976 573,52 zł (100% wartości projektu).

Optymalna farmakoterapia w zabiegach strukturalnych z dostępu przez przegrodę międzyprzedsionkową w perspektywie okołozabiegowej (STOP CLOT Trial) oraz średnioterminowej (SAFE LAAC Trial).

Założona liczba pacjentów: **690**

Wraz ze starzeniem się populacji polskiej rośnie zapotrzebowanie na kardiologiczne przeznaczyniowe zabiegi strukturalne o udokumentowanej wartości w postaci wydłużenia życia i poprawy jego jakości. Część z tych zabiegów wymaga nakłucia przegrody międzyprzedsionkowej, manipulacji w obrębie lewego przedsionka i pozostawienia sztucznego materiału w jamach lewego serca. Stwarza to ryzyko jatrogennego tworzenia się skrzeplin i w konsekwencji zatorowego udaru mózgu lub zatorowości obwodowej. Aby ich uniknąć pacjenci poddawani są farmakoterapii zmniejszającej krzepliwość krwi, która jednak zwiększa ryzyko poważnych krwawień również obciążając rokowanie pacjentów i budżet systemu opieki zdrowotnej.

Projekt zakłada realizację dwóch zsynchronizowanych protokołów: badania STOP CLOT oraz SAFE-LAAC. STOP CLOT zostało zaprojektowane jako randomizowane, wieloośrodkowe, prospektywne badanie podwójnie zaślepione, którego celem jest porównanie wpływu wczesnej inicjacji antykoagulacji vs. późnej inicjacji antykoagulacji na częstość powikłań zakrzepowych i krwotocznych w obserwacji 30 dniowej. Badanie SAFE LAAC ocenia wpływ różnych strategii leczenia przeciwpłytkowego na częstość powikłań zakrzepowych i krwotocznych po zabiegu przezskórnego zamknięcia uszka lewego przedsionka (LAAC) z użyciem urządzenia AMULET lub WATCHMAN. W badaniu porównywane są dwa podejścia:

- okres podwójnej terapii przeciwpłytkowej (DAPT): 30 dni vs. 6 miesięcy po zabiegu LAAC,
- postępowanie po 6 miesiącach od zabiegu: kontynuacja pojedynczej terapii przeciwpłytkowej (SAPT) vs. całkowite odstawienie leczenia przeciwpłytkowego.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **13**

Badaną populacją są pacjenci z kardiomiopatią przerostową (ang. *Hypertrophic Cardiomyopathy*, *HCM*) bez istotnego hemodynamicznie zawężania drogi odpływu lewej komory, w tym część przypadków zaliczana do chorób rzadkich.

Planowane efekty: wyniki badania pozwolą na standaryzację protokołu antykoagulacji u stale wzrastającej liczby pacjentów poddawanych zabiegom TEER (ang. *Transcatheter Edge-to-Edge Repair* – przezcewnikowej naprawy zastawki serca metodą „brzeg do brzegu") oraz LAAC. Z wysokim stopniem prawdopodobieństwa protokół ten będzie można stosować również w przypadku innych zabiegów kardiologii inwazyjnej wymagających nakłucia przegrody międzyprzedsionkowej.

2.1.3. Projekt nr 2020/ABM/01/00004



Obszar badawczy: onkologia. Główna Badacz: [redacted]. Beneficjent: Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 8 710 629,00 zł (100% wartości projektu).

Otwarte badanie fazy 2 mające na celu ocenę bezpieczeństwa i aktywności klinicznej balstilimabu w monoterapii u pacjentów z zaawansowanym/przerzutowym rakiem skóry niebędącym czerniakiem (AGENONMELA).

Założona liczba pacjentów: **80**

Niemelanocytowe nowotwory skóry (ang. *non-melanoma skin cancer*, *NMSC*) występują głównie u osób w podeszłym wieku, a w stadium nieoperacyjnym/rozsianym obserwuje się je stosunkowo rzadko (ok. 80-100 chorych w Polsce rocznie). Problemem klinicznym i społecznym dla chorych i ich rodzin/opiekunów jest postępująca znaczna destrukcja tkanek skóry głowy, karku, czy tułowia, a rozległe rany z owrzodzeniami skutkują cierpieniem i bardzo niską jakością życia chorych. W Polsce stosowana jest głównie refundowana chemioterapia, której prowadzenie w dawkach należnych jest często niemożliwe z uwagi na wiek chorych i choroby współistniejące. W raku Merkla i raku kolczystokomórkowym wykazano skuteczność i bezpieczeństwo przeciwciał anty-PD(L)1, dlatego zespół badaczy zdecydował się na zastosowanie balstilimabu u chorych z NMSC.

Celem projektu jest przeprowadzenie badania klinicznego AGENONMELA oceniającego skuteczność i bezpieczeństwo przeciwciała monoklonalnego antyPD1 (AGEN2034), które należy do grupy leków zarejestrowanych w innych wskazaniach. Badana grupa chorych to przede wszystkim pacjenci w wieku podeszłym z zaawansowanymi, nieoperacyjnymi nowotworami skóry innymi niż czerniaki (n/r NMSC), u których doszło do dalszej progresji choroby i wykorzystane zostały możliwości dotychczasowego leczenia miejscowego. AGEN2034 zostaną podane chorym, w dawce 3 mg/kg co 2 tygodnie przez okres dwóch lat. Bezpieczeństwo i skuteczność terapii jest oceniana poprzez badanie lekarskie, laboratoryjne i obrazowe. Ważnym elementem badania jest ocena jakości życia chorych poddanych terapii. Pierwszorzędowym punktem końcowym jest kontrola choroby (DCR) w 12 tyg. leczenia. W projekcie zaplanowano również innowacyjne badania translacyjne poszerzające wiedzę na temat nowotworów oraz czynników predykcyjnych odpowiedzi na immunoterapię.

Planowane efekty: projekt może dostarczyć przełomowych danych klinicznych dotyczących nowotworów skóry i przyczynić się do zmiany dotychczasowych standardów leczenia i racjonalizacji kosztów.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **2**

2.1.4. Projekt nr 2020/ABM/01/00006

Obszar badawczy: neurologia kliniczna. Główna Badacz: [redacted]. Beneficjent: Samodzielny Publiczny Zakład Opieki Zdrowotnej Szpital Uniwersytecki w Krakowie wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 7 692 329,00 zł (100% wartości projektu).

Ocena efektywności klinicznej technologii BSD (B-matrix Spatial Distribution) oraz algorytmów opartych na sztucznej inteligencji do analizy obrazów MRI w przebiegu stwardnienia rozsianego (SM).

Założona liczba pacjentów: **250**

Stwardnienie rozsiane (łac. *sclerosis multiplex*, *SM*) jest przewlekłą chorobą ośrodkowego układu nerwowego o etiologii autoimmunologicznej. W patofizjologii choroby uwzględnia się występowanie dwóch zasadniczych procesów: zapalno-demielinizacyjnego oraz zwyrodnieniowego. Uwzględniając obraz kliniczny i przebieg choroby, w zależności od sekwencji występowania objawów wyróżnia się trzy podstawowe postaci choroby: rzutowo-remitująca, pierwotnie postępującą oraz wtórnie postępującą. SM może wywoływać wiele objawów i zespołów objawów. Najczęściej są to zaburzenia ruchowe, czuciowe, móżdżkowe (zaburzenia równowagi), zaburzenia widzenia, zespoły bólowe oraz objawy psychiatryczne: zaburzenia poznawcze i zaburzenia nastroju. Chorobowość SM w Polsce szacowana jest na ok. 120 na 100 000 osób, natomiast roczna zapadalność na SM oceniana jest na 4,5 na 100 000 mieszkańców. Celem projektu jest ocena przydatności klinicznej post-processingowej korekty obrazów MRI przy pomocy innowacyjnej technologii BSD (ang. *B-matrix Spatial Distribution*), testowanej dotychczas w warunkach przedklinicznych, do monitorowania przebiegu choroby u pacjentów z rozpoznaniem postaci rzutowo-remitującej stwardnienia rozsianego, a także możliwości jej wykorzystania dla stworzenia algorytmów oceniających opartych na sztucznej inteligencji (AI).

Badanie przeprowadzone zostało na 150-osobowej grupie chorych pozostających w standardowej opiece neurologicznej oraz 75-osobowej grupie kontrolnej. W obu grupach porównywane zostały wyniki badań MRI uzyskiwane metodą standardową oraz po korekcie BSD. Następnie wyniki badania MRI zostały skorelowane ze stanem klinicznym pacjentów i osób z grupy kontrolnej, ze szczególnym uwzględnieniem zaburzeń funkcji poznawczych. Ponadto, uzyskane obrazy MRI stanowiły materiał wejściowy do opracowania założeń algorytmów automatycznej analizy badań opartych na sztucznej inteligencji (AI).

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **1**

Planowane efekty: badanie umożliwi ocenę korzyści klinicznych wynikających z zastosowania badanej technologii oraz ustalenie jej miejsca w schemacie postępowania z pacjentami z SM, jak również dostarczyło danych do opracowania roboczej wersji algorytmów automatyzujących proces oceny wyników badania MRI u pacjentów z SM.

2.1.5. Projekt nr 2020/ABM/01/00021

Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie Państwowy Instytut Badawczy Oddział w Gliwicach

Obszar badawczy: onkologia. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy oddział w Gliwicach. Kwota dofinansowania: 3 111 391,30 zł (100% wartości projektu).

Indukcyjne leczenie chorych na raka płaskonabłonkowego regionu głowy i szyi z zastosowaniem jednoczesnej chemioterapii i radioterapii niskimi dawkami promieniowania jonizującego (iCHRTL).

Założona liczba pacjentów: **40**

W Polsce większość chorych na raka regionów głowy i szyi (RRGiSz) trafia do onkologa z chorobą w stanie zaawansowanym (III, IV stopień kliniczny). Standardowe leczenie (operacja, radioterapia) jest skuteczne u mniej niż połowy takich chorych. Główną przyczyną niepowodzeń są niewyleczenia lub wznowy. U istotnego odsetka chorych pojawiają się przerzuty odległe. Z tego względu podjęto badanie nad skutecznością stosowania dodatkowo chemioterapii (CHT). Obecnie wiadomo już, że CHT skojarzona z radioterapią powoduje zwiększenie wzrostu odsetka wyleczeń miejscowych i węzłowych, zmniejszenie odsetka przerzutów odległych i wydłużenie przeżycia całkowitego.

Celem badania jest weryfikacja skuteczności i dobrej tolerancji kojarzonej chemioterapii i radioterapii niskimi dawkami promieniowania jonizującego (ang. Induction Chemotherapy and Low-dose Radiotherapy, iCHRTL) w leczeniu chorych na raka płaskonabłonkowego. Populację badania klinicznego stanowią chorzy na płaskonabłonkowy RRGiSz jamy ustnej, gardła, krtani lub zatok przynosowych w III lub IV stopniu zaawansowania, nie leczeni wcześniej z tego powodu i kwalifikujący się do chemioterapii indukcyjnej. Podejmowana interwencja obejmuje leczenie indukcyjne - kojarzoną chemioterapię i radioterapię. Chemioterapia realizowana jest z użyciem karboplatyny w dawce AUC 6, podawanej w formie 30-minutowego wlewu dożylnego w dniu 1 cyklu. Dodatkowo pacjent otrzymuje paklitaksel w dawce 75 mg/m², w formie godzinnego wlewu. Po zakończeniu podania karboplatyny w dniu 1 wdrażana jest radioterapia frakcjonowana w postaci dwóch dawek po 0,5 Gy – pierwsza dawka do godziny od zakończenia wlewu, druga od 3 do 6 godzin później. Radioterapia kontynuowana jest również w dniu 2, zgodnie z tym samym schematem.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **1**

Planowane efekty: przy uzyskaniu zakładanej poprawy tolerancji chemioterapii możliwe będzie zwiększenie dostępności leczenia indukcyjnego w badanej grupie chorych. Dodatkowo wyniki mogą wpłynąć na poszerzenie wiedzy na temat zmian biochemicznych, molekularnych i immunologicznych zachodzących u chorych, w efekcie zastosowania niskich dawek promieniowania. Może to również przyczynić się to do określenia znaczenia efektu abskopalnego oraz roli leków immunologicznych w leczeniu chorych na RRGiSz.

2.1.6. Projekt nr 2020/ABM/01/00028

Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Śląskie Centrum Chorób Serca w Zabrzu wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 14 355 862,00 zł (100% w[redacted] projektu).

Neuroprotekcja w zabiegach przezskórnej okluzji uszka lewego przedsionka u chorych z migotaniem przedsionków (LAAC-SBI).

Założona liczba pacjentów: **240**

Zabiegi zamknięcia uszka lewego przedsionka (ang. *Left Atrial Appendage Occlusion*, *LAAC*) są metodą profilaktyki udaru mózgu u chorych z migotaniem przedsionków, którzy nie mogą stosować leków przeciwkrzepliwych. Liczba chorych, którzy są poddawani zabiegowi LAAC ma tendencję wzrostową. Zabiegi skutecznie zmniejszają liczbę udarów, przy znacznej redukcji ryzyka krwawień w porównaniu z doustnymi lekami przeciwkrzepliwymi. Same zabiegi LAAC wiążą się jednak z niewielkim ryzykiem udaru okołozabiegowego, ponadto u około 30% chorych mogą wystąpić incydenty cichego niedokrwienia mózgu (ang. *silent brain infarct*, *SBI*). Efektem odległym SBI może być pogorszenie funkcji poznawczych, wystąpienie zespołów otępiennych, a także depresja.

Celem projektu jest ocena wpływu zastosowania neuroprotekcji w zabiegach LAAC u chorych z migotaniem przedsionków na ryzyko wystąpienia okołozabiegowego SBI i związanych z nim zaburzeń funkcji poznawczych i depresji. W badaniu uczestniczą dorośli pacjenci z rozpoznanym napadowym, przetrwałym lub utrwalonym migotaniem przedsionków, u których istnieją wskazania do profilaktyki udaru niedokrwiennego mózgu. Badanie jest prospektywnym, wieloośrodkowym, randomizowanym oraz podwójnie zaślepionym badaniem interwencyjnym. W grupie badanej stosowane są systemy do ochrony krążenia mózgowego (ang. *cerebral protection systems*, *CPS*) w trakcie zabiegów LAAC. Urządzenia takie znalazły zastosowanie przy przezcewnikowej implantacji zastawki aortalnej, natomiast ich skuteczność w trakcie zabiegów LAAC nie była oceniana. W grupie kontrolnej zabiegi LAAC zostaną przeprowadzone bez neuroprotekcji.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **8**

Planowane efekty: potwierdzenie hipotez badawczych może wpłynąć na redukcję konieczności udzielania specjalistycznych porad z zakresu neurologii, psychiatrii, psychologii chorym z migotaniem przedsionków podawanym zabiegom zamknięcia uszka lewego przedsionka. Ponadto oczekiwać można obniżenia częstości lub opóźnienia konieczności objęcia długoterminową opieką szpitalną. Wyniki badania mogą przyczynić się do modyfikacji metodyki wykonywania procedury LAAC co bez wątpienia wpłynie korzystnie na poprawę standardów leczenia chorych z migotaniem przedsionków.

2.1.7. Projekt nr 2020/ABM/01/00029

INSTYTUT HEMATOLOGII I TRANSFUZJOLOGII

Obszar badawczy: hematologia. Główna Badacz: [redacted]. Beneficjent: Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 15 372 570,00 zł (100% wartości projektu).

Skuteczność i bezpieczeństwo leczenia nawrotu u chorych na chłoniaka DLBCL/HGBCL rozpoznanego w oparciu o monitorowanie krążącego nowotworowego DNA – badanie 2 fazy.

Założona liczba pacjentów: **230**

Chłoniaki rozlane z dużych komórek B (ang. *Diffuse Large B-Cell Lymphoma*, *DLBCL*) są najczęstszymi chłoniakami nie-Hodgkina. Są to klinicznie, morfologicznie i genetycznie wysoce heterogenne nowotwory limfoidalne wywodzące się z dojrzałych komórek B na różnych etapach różnicowania terminalnego. W oparciu o współwystępowanie określonych zaburzeń genetycznych, jako osobną kategorię diagnostyczną wyodrębniono chłoniaki agresywne z komórek B (ang. *High-Grade B-Cell Lymphoma*, *HGBCL*), charakteryzujące się bardzo agresywnym przebiegiem klinicznym. Mimo heterogenności molekularnej chłoniaków DLBCL i HGBCL, według aktualnych wskazań, chorzy są leczeni w pierwszej linii w ten sam sposób.

Celem badania jest opracowanie algorytmu diagnostycznego, bazującego na dynamice zmian stężenia krążącego DNA pochodzenia nowotworowego, służącego wczesnej identyfikacji chorych wrażliwych i opornych na leczenie, wczesnej identyfikacji nawrotów i określeniu, czy wczesne rozpoczęcie leczenia II linii, podjęte w oparciu o opracowany algorytm, wpłynie na wyniki leczenia w populacji badanej. Do badania kwalifikowani są chorzy na chłoniaki rozlane z dużych komórek B (DLBCL) oraz z agresywnymi chłoniakami z komórek B (HGBCL). Badanie podzielone jest na III etapy. Etap I – określony jako pre-screening (I linia leczenia), z zakładaną grupą ok. 340 pacjentów, z których całkowitą remisję uzyska około 60-70% pacjentów, którzy przejdą następnie do etapu II. Etap II – określony jako screening (obserwacja), obejmie 230 pacjentów w całkowitej remisji po I linii leczenia, u których będzie monitorowane cfDNA co 2 miesiące. Etap III – określony jako badanie (II linia leczenia), zakładana liczba chorych z nawrotem to około 65 osób.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **10**

Planowane efekty: wprowadzenie proponowanej metody diagnostycznej, może zmniejszyć obciążenia systemu opieki zdrowotnej generowane dodatkowymi badaniami monitorującymi, umożliwić powrót do pełnej aktywności zawodowej i społecznej oraz zwiększyć wykrywalności wznowy choroby na wczesnym etapie jej rozwoju.

2.1.8. Projekt nr 2020/ABM/01/00032



Obszar badawczy: onkologia. Główna Badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 9 060 765,01 zł (100% wartości projektu).

LBL 2018 – Międzynarodowy i wieloośrodkowy program leczenia chłoniaków limfoblastycznych (LBL) dla dzieci i nastolatków.

Założona liczba pacjentów: **60**

Nieziarnicze chłoniaki limfoblastyczne (ang. *non-Hodgkin Lymphoblastic Lymphoma, LBL*) u dzieci i nastolatków należą do nowotworów wysoce złośliwych. Podstawą leczenia jest wielolekowa chemioterapia (Cht) z użyciem leków cytotoksycznych w określonych dawkach i podawanych w różnym czasie. Kolejność stosowania leków i dawkowanie zależą od fazy leczenia, wieku dziecka, masy ciała lub powierzchni oraz wyników badań laboratoryjnych (szczególnie morfologii krwi), co ma na celu zapewnić chorym najwyższą skuteczność ich działania i bezpieczeństwo.

Celem badania jest porównanie skumulowanej częstości wystąpienia nawrotu chłoniaka w ośrodkowym układzie nerwowym (OUN) w grupach pacjentów poddanych we wstępnej fazie leczenia sterydoterapii z deksametazonem w dawce 10mg/m2 przez 14 dni (grupa badana) lub prednizonem w dawce 60mg/m2 przez 21 dni z 9 dniową stopniową redukcją dawki (grupa kontrolna). Drugi cel obejmujący wyłącznie grupę pacjentów z LBL należących do wysokiego ryzyka to porównanie przeżycia chorych, u których zastosowano zintensyfikowaną Cht z przeżyciem chorych, u których przeprowadzono Cht standardową (grupa kontrolna). Projekt stawia 2 hipotezy badawcze w grupach pacjentów standardowego i wysokiego ryzyka. Pierwsza hipoteza zakłada, że modyfikacja leczenia indukcyjnego poprzez zastąpienie prednizonu deksametazonem zmniejszy liczbę nawrotów chłoniaka w OUN. Druga hipoteza zakłada, że wzmocnienie Cht, u chorych w grupie wysokiego ryzyka zmniejszy całkowitą liczbę nawrotów. Do badania włączane będą dzieci i młodzież leczone z powodu nieziarniczych chłoniaków limfoblastycznych.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **16**

Planowane efekty: potwierdzenie hipotez może prowadzić do zmiany dotychczasowych standardów leczenia chłoniaków u dzieci np. do zmniejszenia intensywności chemioterapii w grupie pacjentów niskiego ryzyka (ograniczenie działań ubocznych, redukcja kosztów leczenia) oraz zaprojektowania bardziej skutecznego modelu chemioterapii dla pacjentów z grupy wysokiego ryzyka, co może zmniejszyć liczbę nawrotów chłoniaka. Optymalizacja chemioterapii w postaci nowych form leczenia z uwzględnieniem czynników prognostycznych może zwiększyć prawdopodobieństwo przeżycia dzieci i nastolatków z LBL.

2.1.9. Projekt nr 2020/ABM/01/00037

Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Narodowy Instytut Kardiologii Stefana kardynała Wyszyńskiego – Państwowy Instytut Badawczy wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 15 777 947,10 zł (100% wartości projektu).

Optymalna strategia postępowania u chorych z nieskutecznie leczonym nadciśnieniem tętniczym. OPTIMAL-HT.

Założona liczba pacjentów: **2 500**

Nadciśnienie tętnicze (NT) pozostaje najważniejszym modyfikowalnym czynnikiem ryzyka sercowo-naczyniowego. Na podstawie dotychczas opublikowanych wyników badań szacuje się, że w Polsce jest 11 milionów chorych na NT. Nadciśnienie tętnicze stanowi też istotne obciążenie dla systemu ochrony zdrowia. Wytyczne ESC/ESH[1] z 2018 roku kładą istotny nacisk na kontrolę ciśnienia tętniczego w populacji osób w wieku do 65 roku życia zalecając uzyskanie w tej grupie chorych na NT uzyskanie nowych, niższych niż dotychczas, docelowych wartości ciśnienia tętniczego (120-129/70-79 mmHg). Wartości te związane są z najbardziej wyrażonym zmniejszeniem ryzyka zdarzeń sercowo-naczyniowych.

Celem projektu jest ustalenie optymalnego postępowania u chorych z niekontrolowanym nadciśnieniem tętniczym (NT) w toku leczenia za pomocą 3 i więcej leków hipotensyjnych (preparaty jedno lub dwulekowe) w celu uzyskania nowych niższych docelowych wartości ciśnienia tętniczego. Badanie polega na zamianie dotychczas stosowanego leczenia na preparat złożony oparty na optymalnie skojarzonych trzech lekach hipotensyjnych, a w przypadku dalszej nieskuteczności zastosowaniu antagonisty aldosteronu lub diuretyku pętlowego. Dodatkowo w badaniu zostanie porównana skuteczność hipotensyjna i profil tolerancji: spironolaktonu, eplerenonu i torasemidu dołączanych jako 4-ty lek hipotensyjny (optymalna intensyfikacja leczenia). Badanie zostanie przeprowadzone na grupie dorosłych pacjentów do 65 roku życia z rozpoznanym i leczonym od co najmniej pół roku nadciśnieniem tętniczym stosujących 3 i więcej leków hipotensyjnych, w tym IKA/sartanu i diuretyku (osobne preparaty jedno- i dwulekowe).

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **16**

Planowane efekty: wyniki badania mogą wpłynąć na rozszerzenie wskazań rejestracyjnych, a co za tym idzie ubieganie się o refundację dla preparatów złożonych opartych na 3 lekach hipotensyjnych oraz ocenionych leków 4-go wyboru. Dane uzyskane w projekcie pozwolą na znalezienie pragmatycznych rozwiązań pozwalających przezwyciężyć główne problemy uzyskiwania docelowych wartości ciśnienia tętniczego w populacji polskiej.

[1] European Society of Cardiology (ESC) i European Society of Hypertension (ESH).

2.1.10. Projekt nr 2020/ABM/01/00040



Obszar badawczy: onkologia. Główna Badacz: [redacted]. Beneficjent: Instytut Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 17 096 384,95 zł (100% wartości projektu).

Zastosowanie terapii celowanej u dzieci od 3 do 18 roku życia z rozpoznaniem rozlanego naciekającego glejaka mostu (diffuse intrinsic pontine glioma-DIPG) w oparciu o wyniki badań genetycznych – DIPGen.

Założona liczba pacjentów: **100**

Nowotwory ośrodkowego układu nerwowego (OUN) są po białaczkach drugą, co do częstości występowania, chorobą nowotworową u dzieci i najliczniejszą grupą guzów litych (>20%). Rozlane naciekające guzy mostu (ang. *Diffuse Intrinsic Pontine Glioma*, *DIPG*) stanowią około 10% nowotworów OUN i są rzadką postacią glejaka występującego głównie u dzieci. W Europie rozpoznaje się kilkaset, a w USA ok. 150-300 przypadków rocznie, natomiast w Polsce szacuje się, że DIPG rozpoznawany jest u ok. 20 – 25 dzieci do 18 roku życia rocznie. W ostatnich dziesięcioleciach wyniki leczenia nowotworów złośliwych u dzieci uległy znacznej poprawie. Obecnie uzyskuje się trwałe wyleczenie u ponad 80% pacjentów, u 70% z nowotworami OUN. Natomiast DIPG należy do grupy najgorzej rokujących nowotworów.

Celem badania jest opracowanie optymalnego leczenia dla pacjentów z DIPG poprzez identyfikację istotnych dla terapii markerów molekularnych, dostosowanie rodzaju produktu leczniczego do zidentyfikowanych markerów oraz ocenę bezpieczeństwa i skuteczności wybranych leków (Syrolimus, Trametynib) w leczeniu rozlanych naciekających glejaków mostu u dzieci. Projekt zakłada przeprowadzenie ujednoliconego postępowania diagnostyczno-terapeutycznego u 100 dzieci od ukończenia 3 roku życia do ukończenia 18 roku życia z DIPG. Badania są prowadzone dwutorowo. W pierwszym etapie identyfikowane są zmiany molekularne umożliwiające włączenie pacjentów do wytypowanych w projekcie grup terapeutycznych. Celem drugiego etapu badań molekularnych jest określenie pełnego profilu molekularnego DIPG oraz wskazanie ewentualnych nowych, istotnych celów terapeutycznych. Po biopsji pacjenci są kwalifikowani do napromieniania według standardowego postępowania w DIPG. W trakcie radioterapii wszyscy pacjenci otrzymują syrolimus.

Planowane efekty: zastosowanie planowanej w projekcie terapii ukierunkowanej osobniczo, wykorzystującej wyniki badań molekularnych, daje szansę na skuteczniejsze leczenie nowotworów typu DIPG i wydłużenie czasu przeżycia pacjentów.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **2**

2.1.11. Projekt nr 2020/ABM/01/00047



Obszar badawczy: pediatria. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Instytut Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 5 159 060,92 zł (100% wartości projektu).

Ocena skuteczności i bezpieczeństwa empagliflozyny w leczeniu neutropenii u pacjentów z glikogenozą 1b.

Założona liczba pacjentów: **16**

Glikogenoza typu Ib (ang. *Glycogen Storage Disease Ib, GSD Ib*) jest chorobą ultrarzadką, wrodzoną, dziedziczoną w sposób autosomalny, recesywny. Objawia się między innymi ciężką hipoglikemią, hepatomegalią i ciężką neutropenią z upośledzeniem funkcji neutrofili, czego skutkiem są nawracające poważne, czasem zagrażające życiu zakażenia bakteryjne i grzybicze oraz nieswoiste zapalenie jelit. W leczeniu neutropenii u pacjentów z GSD Ib stosuje się filgrastim, lek zwiększający liczbę neutrofili, ale nie poprawiający ich funkcji w tej grupie chorych. W 2019 r. opublikowano wyniki badania na zwierzętach, w których dokładnie opisano mechanizm powstawania neutropenii w GSD Ib oraz wykazano skuteczność empagliflozyny (inhibitor SGLT2) w przyczynowym leczeniu neutropenii i zaburzeń funkcji neutrofili w GSD Ib. Empagliflozyna (preparat Jardiance®) jest lekiem zarejestrowanym w Polsce do leczenia cukrzycy typu II u dorosłych. Jego mechanizm działania polega na blokowaniu nerkowych receptorów dla glukozy (SGLT2), przez co dochodzi do wzmożonego wydalania z moczem glukozy, ale także – jak wykazano – 1,5-anhydroglucitolu – substancji hamującej dojrzewanie i upośledzającej funkcję neutrofili u pacjentów z GSD Ib, która powstaje u nich w nadmiarze z powodu defektu enzymatycznego.

Celem badania jest ocena skuteczności i bezpieczeństwa leczenia neutropenii u pacjentów z glikogenozą 1b inhibitorem SGLT2 – empagliflozyną (preparat: Jardiance®). Badaniem została objęta grupa 16 pacjentów pediatrycznych i dorosłych z GSD Ib, w wieku od 4 tygodnia życia. Leczenie empagliflozyną zostało włączone u wszystkich pacjentów.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **2**

Planowane efekty: zastosowanie empagliflozyny u pacjentów z GSD Ib może spowodować zmniejszenie liczby i ciężkości zakażeń, a przez to ograniczy ilości hospitalizacji i antybiotykoterapii, zapobiegnie ciężkim infekcjom zagrażającym życiu. Mniejsza ilość infekcji może pomóc w wyrównaniu metabolicznym chorych i tym samym mieć wpływ na ich jakość życia i odległe rokowanie.

2.1.12. Projekt nr 2020/ABM/01/00053

Obszar badawczy: hematologia. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Warszawski Uniwersytet Medyczny wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 17 354 830,00 zł (100% wartości projektu).

Zastosowanie limfocytów CAR-T antyCD19 w leczeniu dorosłych chorych na nawrotową i oporną ostrą białaczkę limfoblastyczną. Badanie kliniczne fazy I/II (MERMAID1)

Założona liczba pacjentów: **20**

Autologiczne limfocyty T modyfikowane genem kodującym chimeryczny receptor dla antygenu (limfocyty CAR T) stanowią jedną z najbardziej innowacyjnych terapii w medycynie. Należą do grupy produktów ATMP (ang. *Advanced Therapy Medicinal Products*). W uproszczeniu, od pacjenta z nowotworem pobiera się limfocyty, które w warunkach laboratorium transdukuje się za pomocą wektorów wirusowych konstruktem kodującym receptor odpowiedzialny za rozpoznawanie antygenu nowotworowego. Po podaniu choremu, zwalczają one aktywnie komórki nowotworowe z niespotykaną dotychczas skutecznością

Celem projektu jest przeprowadzenie zaawansowanych prac badawczo-rozwojowych w zakresie niekomercyjnego badania klinicznego fazy I/II wieloośrodkowego, jednoramiennego z zastosowaniem produktu ATMP – produkowanych w Polsce limfocytów CAR T antyCD19 do leczenia dorosłych chorych z oporną i nawrotową ostrą białaczką limfoblasyczną. Zaproponowane badanie pozwoli na ocenę bezpieczeństwa i efektów leczenia. Badanie jest prowadzone na grupie 20 dorosłych w wieku od 18 do 65 lat. Od chorych, którzy przejdą pomyślnie fazę skriningu i zostaną włączeni do badania na drodze leukaferezy będą pobrane komórki jednojądrowe z krwi obwodowej. W laboratorium będą one modyfikowane genetycznie licencjonowanym, innowacyjnym konstruktem CAR antyCD19. Po uwolnieniu produktu, pacjent otrzyma chemioterapię limfodeplecyjną, a następnie wlew limfocytów CAR T. Leczenie towarzyszące obejmować będzie kondycjonowanie poprzez chemioterapię, terapię powikłań oraz leki stosowane profilaktycznie.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **3**

Planowane efekty: pozytywne wyniki badania wprowadzą nową jakość do leczenia dorosłych chorych z oporną i nawrotową ostrą białaczką limfoblasyczną w Polsce i na świecie. Mogą również wpłynąć na ustalenia legislacyjne i refundacyjne produktów komórkowych, w tym ATMP poprawiając dostęp do innowacyjnych metod.

2.1.13. Projekt nr 2020/ABM/01/00054



Obszar badawczy: neurologia kliniczna. Główna Badacz: [redacted]. Beneficjent: Instytut Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 16 880 726,88 zł (100% wartości projektu).

Wieloośrodkowe, randomizowane, podwójnie zaślepione, kontrolowane placebo badanie oceniające skuteczność i bezpieczeństwo rapamycyny w lekoopornej padaczce związanej ze stwardnieniem guzowatym.

Założona liczba pacjentów: **200**

Stwardnienie guzowate (ang. *Tuberous Sclerosis Complex*, *TSC*) jest genetycznie uwarunkowaną chorobą występującą u 1 na 6 000 osób. Objawy choroby obejmują guzy serca, dysplazje w mózgu, zmiany skórne typu angiofibroma i plamy odbarwieniowe, guzy mózgu, siatkówki oka, nerek, płuc, wątroby. Objawem TSC, który w największym stopniu wpływa na jakość życia pacjentów, jest padaczka, która rozwija się u około 90% pacjentów i w ponad połowie przypadków jest lekooporna. W leczeniu zmian guzowatych w TSC stosuje się inhibitory szlaku mTOR. Ewerolimus, pochodna rapamycyny, łagodzi także napady w lekoopornej padaczce związanej z TSC. Lek ten nie jest jednak w Polsce refundowany w padaczce.

Celem badania jest ocena skuteczności, tolerancji i bezpieczeństwa rapamycyny w terapii dodanej do leków przeciwpadaczkowych u pacjentów z lekooporną padaczką związaną ze stwardnieniem guzowatym. Ponadto w badaniu analizowane są w sposób prospektywny biomarkery molekularne, elektrofizjologiczne i neuroobrazowe epileptogenezy i onkogenezy. Do badania włączani są pacjenci w wieku od 3 miesiąca do 55 roku życia ze stwardnieniem guzowatym i lekooporną, aktywną (co najmniej 8 napadów w czasie 4 tygodni) padaczką, z napadami o ogniskowym początku. Interwencja polega na farmakoterapii doustnej z zastosowaniem leku hamującego szlak mTOR – rapamycyny (syrop lub tabletki). Lek jest podawany poza wskazaniami rejestracyjnymi w postaci farmaceutycznej dostosowywanej do wieku i stanu pacjenta. W celu utrzymania zaślepienia badania, placebo podawane jest w dwóch postaciach, syropu i tabletek, w różnych ilościach zależnie od wieku i wagi pacjenta.

Planowane efekty: jeśli badanie wykaże skuteczność i bezpieczeństwo leczenia rapamycyną, otworzy to możliwości do wprowadzenia tego sposobu leczenia do standardowego leczenia i zmian polskich wytycznych dotyczących postępowania w TSC.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **3**

2.1.14. Projekt nr 2020/ABM/01/00055

Obszar badawczy: onkologia. Główna Badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Jagielloński wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 17 168 744,64 zł (100% wartości projektu).

Immunoterapia z zastosowaniem dinutuksymabu beta skojarzona z chemioterapią w leczeniu pacjentów z neuroblastoma pierwotnie opornym na leczenie standardowe oraz ze wznową lub progresją choroby.

Założona liczba pacjentów: **28**

Nerwiak zarodkowy współczulny (neuroblastoma, NBL) jest jednym z najczęstszych złośliwych guzów litych u dzieci. Nowotwór ten pojawia się u 6-11 na 1 000 000 dzieci rocznie (60–70 nowych zachorowań w Polsce), w tym u około 1/3 pacjentów stwierdza się chorobę wysokiego ryzyka niepowodzenia leczenia (ang. *High-Risk Neuroblastom*, *HR-NBL*). Obecnie nie ma wytycznych dotyczących leczenia pacjentów z NBL opornym na wstępne leczenie lub ze wznową choroby, a stosowanie dinutuksymabu beta (DB) ograniczone jest do monoterapii w leczeniu MRD (minimalna choroba resztkowa).

Głównym celem badania jest ocena bezpieczeństwa podawania DB w terapii skojarzonej z konwencjonalną chemioterapią u pacjentów z NBL pierwotnie opornym na standardową chemioterapię (nieadekwatna odpowiedź po 1-2 cyklach chemioterapii indukcyjnej) oraz ze wznową lub progresją choroby. Celem drugorzędowym jest wstępna ocena skuteczności terapii oceniana jako odsetek obiektywnych odpowiedzi na leczenie oraz jednoroczny czas przeżycia wolnego od progresji choroby (PFS), przeżycia całkowitego (OS) i przeżycia wolnego od niekorzystnych wydarzeń (EFS), a także ocena odpowiedzi układu immunologicznego na zastosowane leczenie, polimorfizmów Kir i receptora Fc oraz ich związek z profilem bezpieczeństwa i skutecznością leczenia, ocena eradykacji przerzutów w szpiku kostnym z zastosowaniem immunocytochemii i cytometrii przepływowej jako wczesnego markera odpowiedzi na leczenie. Badaną grupą są pacjenci z NBL pierwotnie opornym na leczenie standardowe i ze wznową lub progresją NBL, dla których brak jest aktualnie standardów postępowania, a stosowane dotychczas metody leczenia nie dają szansy na uzyskanie trwałej remisji choroby. Badanym produktem leczniczym jest dinutuksymab beta w dawce 10 mg/m2/dobę we wlewie ciągłym przez 5 dni w skojarzeniu z chemioterapią irynotekan/temozolomid, topotekan/temozolomid lub chemioterapią N5/N6.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **1**

Planowane efekty: zastosowanie nowych metod leczenia może pozwolić na uzyskanie trwałych wyleczeń u pacjentów z NBL z niepowodzeniami leczenia, dla których dotychczas nie było skutecznej terapii. Użycie immunoterapii pozwoli na ograniczenie ponownego zastosowania konwencjonalnej chemioterapii oraz zmniejszenie ryzyka późnych działań niepożądanych.

2.1.15. Projekt nr 2020/ABM/01/00074

Obszar badawczy: onkologia. Główna Badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Medyczny w Białymstoku wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 9 223 601,00 zł (100% wartości projektu).

Wieloośrodkowa ocena przydatności klinicznej innowacyjnego badania PET/MR z wykorzystaniem radioznacznika 68Ga-PSMA-11 w planowaniu terapii personalizowanej u chorych na raka gruczołu krokowego.

Założona liczba pacjentów: **366**

Rak gruczołu krokowego (RGK) jest najczęściej występującym nowotworem złośliwym w populacji męskiej w Europie, a drugim (po raku płuca) na świecie. Umieralność z powodu tego nowotworu w krajach Unii Europejskiej to średnio 37,4/100 tys., niestety w Polsce jest relatywnie wysoka i wynosi 48,4/100 tys. Dodatkowo w wielu przypadkach RGK rozwija się powoli, stając się chorobą przewlekłą, prowadzącą do obniżenia jakości życia.

Celem badania jest wykazanie wyższości korzyści klinicznych badania 68Ga-PSMA11 PET/MR nad badaniem 68Ga-PSMA11 PET/CT oraz udowodnienie korzyści jakie płyną z włączenia do schematów diagnozowania chorych z RGK badań PET/MR z 68Ga-PSMA11. Wieloośrodkowym badaniem prospektywnym zostało objętych 366 chorych: 183 z RGK pośredniego i wysokiego ryzyka przed wdrożeniem leczenia radykalnego oraz 183 z rozpoznaniem wznowy biochemicznej po przebytym leczeniu radykalnym. Każdy chory po jednorazowym podaniu 68Ga-PSMA został poddany badaniom PET/CT i PET/MR następującym bezpośrednio po sobie, celem redukcji dawki promieniowania jonizującego oraz umożliwienia bezpośredniego porównania danych z badań. Ocena otrzymanych obrazów (oddzielnie PET/CT i PET/MR) jest przeprowadzana przez niezależne zespoły specjalistów. Otrzymane dane są weryfikowane wynikami z badania histopatologicznego (u pacjentów poddanych prostatektomii radykalnej lub poddanych biopsji celowanej prostaty opartej na nawigacji obrazem PET/MRI) i/lub poprzez 12-miesięczną obserwację chorych (u wszystkich pacjentów pomiar wartości PSA).

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **7**

Planowane efekty: efektem docelowym realizowanego projektu jest wprowadzenie do standardów diagnostyki RGK badania PET/MR z użyciem radiofarmaceutyku 68Ga-PSMA. Włączenie 68Ga-PET/MR do standardowego postępowania u chorych z RGK może istotnie poprawić efektywność leczenia radykalnego oraz umożliwić optymalizację ścieżki terapeutycznej z personalizacją procedur, co w obserwacji długofalowej może wydłużyć czas przeżycia oraz jakość życia chorych na RGK.

2.1.16. Projekt nr 2020/ABM/01/00078

Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Warszawski Uniwersytet Medyczny wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 8 676 067,60 zł (100% wartości projektu).

Zastosowanie leukocytarnej fibryny bogatopłytkowej jako stymulatora procesu angiogenezy u chorych poddawanych rewaskularyzacji z powodu krytycznego niedokrwienia kończyn dolnych.

Założona liczba pacjentów: **100**

Miażdżyca zarostowa tętnic kończyn dolnych jest często występującą chorobą cywilizacyjną z grup chorób sercowo-naczyniowych, która związana jest z wysoką chorobowością, śmiertelnością i znaczącym obniżeniem jakości życia pacjentów. Szacuje się, że obecnie około 202 miliony osób na świecie choruje na miażdżycę zarostową tętnic kończyn dolnych, a u wielu z nich postęp choroby prowadzi do utraty kończyny. Obecnie, pierwszą linią leczenia są zabiegi wewnątrznaczyniowe albo chirurgiczny przeszczep omijający. Mimo, że powodzenie techniczne takiego leczenia jest stosunkowo wysokie, długotrwałe szanse na uratowanie kończyny oraz wskaźniki przeżycia bez utraty kończyny nie są zadowalające. Celem badania jest wypracowanie nowych metod interwencyjnych w leczeniu krytycznego niedokrwienia kończyn dolnych z zastosowaniem produktu leczniczego jakim jest L-PRF (leukocytarna fibryna bogatopłytkowa). L-PRF jest autologicznym produktem leczniczym, izolowanym bezpośrednio z krwi pacjenta poprzez odwirowanie trombocytów i leukocytów od krwinek czerwonych i zawieszeniu ich w żelu fibrynowym. Ten autologiczny produkt wykazuje właściwości indukujące angiogenezę, przyspieszające gojenie i modulujące odpowiedź immunologiczną. W badaniu przewidziano interwencję u 100 chorych z krytycznym niedokrwieniem kończyn dolnych, czyli stadium 4 i 5, w 6 stopniowej skali Rutherforda oceniającej stopień zaawansowania miażdżycy zarostowej tętnic kończyn dolnych. Interwencja będzie polegać na wewnątrznaczyniowej rewaskularyzacji niedrożnych tętnic w odcinku podkolanowym z jednoczasowym, śródmięśniowym podaniem produktu leczniczego - autologicznej leukocytarnej fibryny bogatopłytkowej w celu wydłużenia trwałości zabiegu.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **1**

Planowane efekty: przewidywanym efektem zdrowotnym jest uniknięcie konieczności amputacji kończyny i długotrwałe ustąpienie objawów krytycznego niedokrwienia kończyn dolnych, co przyczyni się do samodzielnego funkcjonowania pacjentów. Będzie to miało zarówno wymiar jednostkowy, jak i aspekt społeczny związany z odciążeniem finansowym systemu ochrony zdrowia, opieki rehabilitacyjnej jak i bezpośredniej opieki nad pacjentem.

2.1.17. Projekt nr 2020/ABM/01/00098

Obszar badawczy: onkologia. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 9 407 825,26 zł (100% wartości projektu).

Wpływ nieodwracalnej elektroporacji wapniowej, elektrochemioterapii oraz elektroporacji (IRE-CaCl2, ECT oraz IRE) na jakość życia oraz przeżycie wolne od progresji u chorych na raka trzustki

Założona liczba pacjentów: **70**

Według danych epidemiologicznych Krajowego Rejestru Nowotworów w ostatnich latach obserwuje się wzrost zachorowalności na nowotwory trzustki. Zabieg resekcyjny jest jedyną szansą całkowitego wyleczenia, niestety możliwy jest jedynie u 20- 30% chorych. Nawet w tej grupie chorych przeżycia 5- letnie oscylują od 31,4% do 6,8%. Pozostała, większa grupa chorych to pacjenci ze zmianami nieresekcyjnymi – 70% - 80% pacjentów. Odkryciem ostatniej dekady jest elektroporacja – nowatorska metoda polegająca na destabilizacji błony komórkowej komórki nowotworowej, zwiększeniu jej przepuszczalności dla leków. Proces ten prowadzi do śmierci komórki na drodze apoptozy. Ze względu na zmiany przepuszczalności błony komórkowej do procesu fizycznego zaczęto dodawać chemioterapeutyki lub jony wapnia. Tak powstała nowatorska metoda leczenia guzów litych – elektrochemioterapia (ang. *electrochemotherapy*, *ECT*) i elektroporacja wapniowa.

Celem projektu jest wypracowanie nowych schematów terapeutycznych dla pacjentów z nieresekcyjnym rakiem trzustki. Do projektu kwalifikowani są pacjenci powyżej 18 roku życia z potwierdzonym histopatologiczne, nieresekcyjnym rakiem gruczołowym trzustki w stadium III, w stanie ogólnym wg skali WHO 0-2. Dodatkowo mogą zostać zakwalifikowani pacjenci z miejscową wznową procesu nowotworowego, po resekcji trzustki. Uczestnicy badania włączani są do jednej z 3 grup:

- pacjenci, u których zostanie przeprowadzony wyłącznie zabieg elektroporacji nieodwracalnej,
- pacjenci, u których zostanie przeprowadzony zabieg elektroporacji wapniowej,
- pacjenci, którzy otrzymają bleomycynę podawaną przed oraz podczas procedury elektroporacji oraz jednoczasowo doguzowo.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **1**

Planowane efekty: podstawowymi efektami zdrowotnymi będzie wydłużenie całkowitego czasu przeżycia (OS), wydłużenie przeżycia wolnego od progresji (DFS) oraz polepszenie jakości życia pacjentów z nieresekcyjnym rakiem trzustki. Wyniki badań mogą również przyczynić się do powstania nowych programów leczniczych.

2.1.18. Projekt nr 2020/ABM/01/00100

Obszar badawczy: onkologia. Główna Badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Medyczny w Białymstoku wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 9 571 200,00 zł (100% wartości projektu).

Ocena wpływu metforminy na płodność pacjentek leczonych I131 z powodu raka brodawkowatego tarczycy.

Założona liczba pacjentów: **160**

Rak tarczycy jest najczęstszym na świecie nowotworem złośliwym gruczołów wydzielania wewnętrznego. Wykazano, że rak tarczycy ma najszybciej zwiększający się wskaźnik zachorowalności na wszystkie typy raka wśród kobiet, jednocześnie dotyka młodszą populację niż większość nowotworów złośliwych, z medianą wieku w momencie rozpoznania około 50 roku życia. Leczeniem z wyboru w przypadku rozpoznania raka tarczycy jest operacja, która polega na całkowitym lub częściowym usunięciu gruczołu tarczowego. Natomiast leczenie uzupełniające jodem promieniotwórczym (I131) ma na celu zniszczenie tkanki tarczycy pozostałej po operacji oraz zniszczenie nieuchwytnych klinicznie przetrwałych komórek nowotworowych w węzłach chłonnych i narządach odległych.

Celem badania jest ocena wpływu zastosowania metforminy na rezerwę jajnikową u pacjentek z rakiem brodawkowatym tarczycy (RBT) poddanych terapii I131. Celem oceny plejotropowego i między innymi przeciwnowotworowego działania metforminy, będzie badany mechanizm działania leku na stres oksydacyjny oraz szlaki apoptozy. Uzyskane wyniki badania pozwolą odpowiedzieć na pytanie czy zastosowanie metforminy wiąże się z zachowaniem rezerwy jajnikowej u kobiet z rakiem tarczycy poddanych terapii I131 oraz pozwoli na lepszą optymalizację leczenia pacjentek i ewentualne zachowanie płodności w młodej grupie pacjentek. Do badania zostanie zrandomizowanych 140 kobiet (70 kobiet otrzyma metforminę, a 70 kobiet otrzyma placebo), w wieku od 18 do 45 roku życia, które zostaną poddane operacji usunięcia tarczycy z powodu RBT oraz ze względu na stopień zaawansowania choroby zostaną zakwalifikowane do leczenia uzupełniającego I131. Kolejną grupę 20 kobiet, będą stanowiły pacjentki, po leczeniu operacyjnym z powodu RBT, które ze względu na niskie ryzyko wznowy, nie będą poddane terapii I131.

Planowane efekty: w przypadku pozytywnego wyniku powyższego badania możliwe byłoby włączenie metforminy do schematów terapii u pacjentek z rakiem tarczycy w wieku reprodukcyjnym poddawanych terapii I131. Przyczyniłoby się to do zachowania płodności w tej grupie pacjentek.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **4**

2.1.19. Projekt nr 2020/ABM/01/00102

Obszar badawczy: hematologia. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Pomorski Uniwersytet Medyczny w Szczecinie. Kwota dofinansowania: 8 523 653,52 zł (100% wartości projektu).

Ocena bezpieczeństwa i skuteczności berubicyny w leczeniu chłoniaków ośrodkowego układu nerwowego.

Założona liczba pacjentów: **60**

Chłoniaki nie-Hodgkina (ang. *non-hodgkin lymphomas*, *NHL*) są najczęściej spotykanymi nowotworami krwi u osób dorosłych. NHL są ósmą przyczyną zachorowań na nowotwory na świecie u mężczyzn i jedenastą u kobiet. Rocznie na świecie diagnozuje się ponad 350 tys. osób z NHL, ok. 200 tys. w tym samym czasie umiera. Nacieki chłoniaka w ośrodkowym układzie nerwowym mogą mieć charakter pierwotny bądź wtórny. W zdecydowanej większości przypadków są to chłoniaki B-komórkowe (CD20+), a tylko niewielki odsetek stanowią chłoniaki z komórek T. Pierwotny chłoniak centralnego układu nerwowego (ang. *Primary Central Nervous System Lymphoma*, *PCNSL*) jest rzadkim wariantem chłoniaka nieziarniczego (NHL), który przebiega z zajęciem mózgu, opon mózgowo-rdzeniowych, oczu lub rdzenia kręgowego, bez objawów choroby ogólnoustrojowej.

Celem projektu jest przeprowadzenie jednoramiennego, nierandomizowanego badania klinicznego typu „open label" fazy Ib/II u dorosłych pacjentów z pierwotnym chłoniakiem ośrodkowego układu nerwowego lub chłoniakiem nieziarniczym z wtórnym zajęciem ośrodkowego układu nerwowego (ang. *Non-Hodgkin Lymphoma – Central Nervous System Involvement*, *NHL-CNSI*) z wykorzystaniem berubicyny (BER). Berubicyna jest innowacyjnym lekiem, analogiem doksorubicyny (DOXO), której bezpieczeństwo zostało potwierdzone w I fazie badań klinicznych u chorych z glejakiem OUN. Jednocześnie, istotnym elementem projektu będzie przeprowadzenie towarzyszącego badania przedklinicznego dotyczącego oceny cytotoksyczności BER na ustalonej linii chłoniaka B - komórkowego o wysokim stopniu złośliwości (ang. *diffuse large B-cell lymphoma*, *DLBCL*) i poszukiwanie nowych markerów choroby w surowicy i płynie mózgowo-rdzeniowym. Do badania zostanie włączonych 60 pacjentów z rozpoznanym pierwotnym chłoniakiem ośrodkowego układu nerwowego (PCNSL) lub chłoniakami nie-Hodgkina z zajęciem OUN (NHL-CNSI) w wieku od 18 do 70 roku życia.

Planowane efekty: badanie pozwoli na wyodrębnienie markerów przebiegu choroby oraz skuteczności zastosowanego leczenia, co w konsekwencji może doprowadzić do opracowania nowych, optymalnych schematów leczenia i szybszej diagnostyki chorób nowotworowych przebiegających z zajęciem OUN.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **1**

2.1.20. Projekt nr 2020/ABM/01/00103

Obszar badawczy: onkologia. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Gdański Uniwersytet Medyczny. Kwota dofinansowania: 17 117 037,96 zł (100% wartości projektu).

Zastosowanie niwolumabu (N) z następową chemioterapią: bendamustyną, gemcytabiną i deksametazonem-BGD z autologiczną transplantacją szpiku u chorych na chłoniaka Hodgkina opornego na leczenie 1 linii.

Założona liczba pacjentów: **86**

Chłoniak Hodgkina (ang. *Hodgkin Lymphoma, HL*) stanowi około 1% wszystkich nowotworów i około 12% wszystkich chłoniaków. W Polsce liczba nowych zachorowań wynosi około 800-900 rocznie. Rokowanie chorych na HL jest względnie dobre - za pomocą leczenia pierwszej linii można wyleczyć około 70% - 85% z zaawansowaną postacią HL. Jednak rokowanie chorych opornych i nawrotowych (ang. *relapsed/refractory, r/r*) jest złe – prawdopodobieństwo przeżycia 3 lat od rozpoznania wynosi tylko 30%. Standardowym leczeniem r/r HL jest chemioterapia drugiej linii, po której w przypadku dobrej odpowiedzi przeprowadza się autologiczne transplantacje komórek krwiotwórczych (ang. *autologous Hematopoietic Cell Transplantation, aHCT*). Długoletnie przeżycia tak leczonych chorych nie przekraczają jednak 50%.

Celem badania jest poprawa wyników leczenia chorych na HL poprzez zastosowanie 3 cykli Niwolumabu (N) przed ratunkową chemioterapią BGD[2] (2 cykle) z następową aHCT. Hipoteza badawcza zakłada, że Niwolumab zwiększy odpowiedzi na BGD do 90% oraz zmniejszy odsetek wznów po aHCT o 10%. Drugim celem jest ocena wartości predykcyjnej wolnego krążącego DNA komórek guza po zastosowaniu N-BGD[3] co do czasu przeżycia wolnego od progresji choroby. Do badania włączani są chorzy w wieku 18-70 lat z klasyczną postacią chłoniaka Hodgkina z postacią wczesną i dużą metaboliczną objętością guza lub ze zmianą masywną w fazie oporności/nawrotu po leczeniu pierwszej linii. W proponowanym projekcie interwencja polega na wczesnym zastosowaniu krótkiego kursu leczenia niwolumabem poprzedzającego podanie klasycznej chemioterapii ratunkowej BGD.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **8**

Planowane efekty: badanie pozwoli na ocenę czy chorzy na HL oporni na leczenie pierwszej linii odnoszą korzyść z wcześniejszego zastosowania Niwolumabu przed chemioterapią ratunkową II linii. Szacuje się, że odsetek wyleczonych chorych zwiększy się z 60 do 80%, co powinno zmniejszyć również nakłady ponoszone w dalszych etapach leczenia chorych.

[2] BGD- bendamustyna, gemcytabina, deksametazon
[3] N-BGD to nowatorski protokół leczenia (r/r HL), który łączy immunoterapię z niwolumabem (N) oraz chemioterapię BGD, poprzedzając autologiczny przeszczep komórek krwiotwórczych (aHCT).

2.1.21. Projekt nr 2020/ABM/01/00107



Obszar badawczy: hematologia. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 15 561 577,32 zł (100% wartości projektu).

Development of an optimal strategy for the production and administration of CAR-T lymphocytes in adults and children with B-cell non-Hodgkin lymphomas and acute lymphoblastic leukemia.

Założona liczba pacjentów: **30**

Terapia za pomocą modyfikowanych genetycznie limfocytów T z chimerycznym receptorem antygenowym (CAR) stała się przełomem w immunoterapii nowotworów. Metoda ta, polega na pobraniu limfocytów T chorego metodą leukaferezy, ich aktywacji, modyfikacji, namnożeniu i zwrotnym podaniu choremu. W dedykowanych laboratoriach GMP do genomu komórki za pomocą wektora wirusowego wprowadza się specjalnie opracowany konstrukt, czyli fragment DNA kodujący sztuczny CAR, który rozpoznaje określony antygen na powierzchni komórki nowotworowej. Po namnożeniu komórki CAR-T podawane są choremu. Przed infuzją limfocytów CAR-T stosuje się chemioterapię w celu tzw. limfodeplecji. Niedawno opublikowane wyniki badania w chłoniaku Hodgkina leczonym limfocytami CAR-T anty-CD30 sugerują, że limfodeplecja za pomocą fludarabiny podawanej z bendamustyną może zapewnić lepiej zrównoważony profil skuteczności i toksyczności terapii CAR, tj. niższą częstość zespołu uwalniania cytokin, a także dłuższe utrzymywanie się komórek CAR-T w organizmie chorego.

Celem badania jest wdrożenie produkcji komórek CAR-T w miejscu leczenia z wykorzystaniem systemu CliniMACS Prodigy i wektora lentiwirusowego anty-CD19 (Lentigen). Ponadto planowane jest opracowanie strategii postępowania prowadzącej do zwiększenia skuteczności produkcji limfocytów CAR-T w oparciu o identyfikację laboratoryjnych i klinicznych czynników predykcyjnych. Cele drugorzędowe obejmują ocenę bezpieczeństwa i skuteczności terapii CAR-T z zastosowaniem dwóch różnych schematów limfodeplecji, tj. schematu złożonego z fludarabiny z cyklofosfamidem lub z fludarabiny z bendamustyną. Badanie kliniczne fazy I/II, zostanie przeprowadzone w grupie chorych na oporne/nawrotowe chłoniaki rozlane z dużych komórek B, chłoniaki z komórek B o wysokim stopniu złośliwości i dzieci chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną z prekursorów B-komórkowych.

Planowane efekty: proponowane badanie może umożliwić wdrożenie produkcji komórek CAR-T oraz zoptymalizować sposób ich podawania, przy względnie znacznie niższych kosztach w porównaniu z kosztami leczenia produktami komercyjnymi.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **1**

2.1.22. Projekt nr 2020/ABM/01/00110

Obszar badawczy: układ oddechowy. Główna Badacz: [redacted]. Beneficjentem: Gdański Uniwersytet Medyczny. Kwota dofinansowania: 12 514 945,60 zł (100% wartości projektu).

Ocena wpływu preparatu mezenchymalnych komórek macierzystych galarety Whartona (WJMSCs) w leczeniu zwłókniających śródmiąższowych chorób płuc.

Założona liczba pacjentów: **45**

Idiopatyczne włóknienie płuc (ang. *Idiopathic Pulmonary Fibrosis*, *IPF*) to choroba rzadka – około 7 000 chorych w Polsce, roczne zachorowania wynoszą ok. 1 000 nowych przypadków. Przyczyna schorzenia nie jest znana. Jest to np. współwystępowanie refluksu, cukrzycy, zakażeń wirusowych i polimorfizmów genetycznych w obrębie genów kodujących telomerazę, białka surfaktantu i śluzu oskrzelowego. Komponentem zmian miąższu płucnego w IPF jest postępujące włóknienie prowadzące do nieodwracalnego niszczenia struktur płuca i zastępowania ich zbitą włóknistą tkanką.

Celem badania jest ocena bezpieczeństwa i skuteczności terapii preparatem komórek galarety Whartona u pacjentów z chorobami przebiegającymi z włóknieniem płuc. W badaniu zostanie zastosowana terapia komórkowa z użyciem allogenicznych komórek macierzystych galarety Whartona, izolowanych ze sznura pępowinowego (ang. *Mesenchymal Stem Cells*, *MSC*) u pacjentów z chorobami przebiegającymi z włóknieniem płuc, tj. IPF oraz po COVID-19. Badanie kwalifikowane jest jako faza I/IIa i zakłada, że MSC podawane choremu we włóknieniu zatrzymają lub przynajmniej spowolnią ten proces, co być może pozwoli opóźnić postęp choroby. Stosowany protokół przewiduje wzrost tolerowanej dawki w schemacie 3+3+3. Preparat MSC podawany jest dożylnie do maksymalnej sumarycznej dawki określonej w badaniu, natomiast grupy kontrolne otrzymają placebo. Dodatkowo w grupach pacjentów z IPF (zarówno grupa leczona MSC, jak i kontrolna) otrzymują standardowe leczenie pirfenidonem lub nintedanibem.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **1**

Planowane efekty: efektem końcowym projektu będzie określenie wykonalności i bezpieczeństwa podawania MSC uzyskiwanych z galarety Whartona w zwłókniających chorobach płuc oraz określenie bezpiecznej dawki leku. Terapia MSCs ma szanse przedłużyć życie chorych, poprawić jakość życia i zmniejszyć nakłady na leczenie zaostrzeń, z reguły wymagających hospitalizacji oraz powikłań w postaci przewlekłej niewydolności oddychania.

2.1.23. Projekt nr 2020/ABM/01/00118

Obszar badawczy: intensywna terapia i opieka medyczna w stanach nagłych. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytecki Szpital Kliniczny w Opolu wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 2 441 360,38 zł (100% wartości projektu).

Porównanie skuteczności dwóch dawek witaminy D3 u pacjentów krytycznie chorych poddanych ciągłej terapii nerkozastępczej – NephroD.

Założona liczba pacjentów: **140**

W populacji osób zdrowych niedobór witaminy D3 jest zjawiskiem częstym, na które szczególnie narażeni są pacjenci oddziałów intensywnej terapii (OIT). Częstość niedoboru u osób krytycznie chorych może dochodzić nawet do 90%. Stwierdzono ponadto, że stężenia 25(OH)D3 w surowicy podlegają systematycznemu obniżaniu w trakcie leczenia w oddziale intensywnej terapii. Niedobór witaminy D3 u pacjentów krytycznie chorych łączony jest z ostrym uszkodzeniem nerek, ostrą niewydolnością oddechową, sepsą, wstrząsem septycznym oraz zwiększoną śmiertelnością ogólną w OIT.

Celem badania jest ocena skuteczności dwóch dawek suplementacyjnych witaminy D3 (25(OH)D3) – 500 000 jm i 750 000 jm podanych jednorazowo drogą enteralną (przez sondę żołądkową lub doustnie) u pacjentów oddziału intensywnej terapii poddanych ciągłej terapii nerkozastępczej, u których stwierdzono ciężki niedobór witaminy D3 (stężenie witaminy D3 w surowicy równe lub mniejsze niż 12,5 ng/ml). Miarą skuteczności suplementacji będzie uzyskanie stężenia osoczowego 25(OH)D3 wynoszącego 30 ng/ml lub więcej w dniu 3 i 7 od podania preparatu D3. NephroD jest badaniem wieloośrodkowym, randomizowanym, obejmującym dorosłych pacjentów oddziałów intensywnej terapii poddanych ciągłej terapii nerkozastępczej, którzy będą losowo przydzielani do dwóch ramion badawczych w stosunku 1:1. Ramię interwencyjne – jednorazowa podaż 750 000 jm witaminy D3 drogą enteralną. Ramię kontrolne (standard terapeutyczny) – jednorazowa podaż 500 000 jm witaminy D3 drogą enteralną.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **3**

Planowane efekty: zakłada się, że skuteczniejsza suplementacja witaminy D3 u najciężej chorych pacjentów z objawami niewydolności wielonarządowej w tym nerek poddanych ciągłej terapii nerkozastępczej leczonych w OIT zmniejszy istotnie ryzyko i częstość występowania zakażeń szpitalnych, w tym zakażeń wieloopornymi szczepami bakteryjnymi, zmniejszą się wskaźniki śmiertelności w OIT, skróceniu ulegnie czas leczenia, co w istotny sposób wpłynie na jakość i skuteczność funkcjonowania systemu ochrony zdrowia.

2.1.24. Projekt nr 2020/ABM/01/00121

Obszar badawczy: chirurgia. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 2 PUM w Szczecinie wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 14 218 910,20 zł (100% wartości projektu).

Ocena bezpieczeństwa i efektywności klinicznej stent-graftów aortalnych modelowanych przy użyciu innowacyjnej technologii drukowania modeli w formacie 3D – wieloośrodkowe badanie randomizowane.

Założona liczba pacjentów: **100**

Tętniak aorty brzusznej jest schorzeniem występującym nawet u 4-9% starszych mężczyzn. Tętniak często nazwany jest „tykającą bombą" ze względu na wysokie ryzyko niekontrolowanego pęknięcia i zgonu. W takiej sytuacji śmiertelność sięga ponad 90%. Leczenie koncentruje się na działaniach prewencyjnych, polegających na przeprowadzeniu operacji naczyniowej, zanim dojdzie do pęknięcia zmiany. Nowoczesna wewnątrznaczyniowa naprawa tętniaka aorty jest leczeniem małoinwazyjnym. Proteza wszczepiana jest wewnątrznaczyniowo z małych nacięć w pachwinach. Jest to korzystna alternatywa dla operacji klasycznej, która wiąże się z długim okresem rekonwalescencji i większą śmiertelnością wczesną. Istnieje innowacyjna metoda cyfrowa pozwalająca na wydrukowanie modelu aorty pacjenta na podstawie obrazów angiotomografii komputerowej. Trójwymiarowy model aorty pacjenta może zostać wytworzony w technologii medycznego druku 3D. Taki model może zostać następnie wykorzystany do poprowadzenia chirurga do uformowania stent-graftu w sposób spersonalizowany dla danego pacjenta.

Celem badania jest wykazanie równoważności stentgraftów formowanych przy pomocy oprogramowania do medycznego druku 3D do stentgraftów wytwarzanych na zamówienie (ang. *Custom-Made Device*, *CMD*) pod względem wskaźników operacyjnych oraz przeżywalności po operacji tętniaka aorty. Badaniem objęci są pacjenci z juxtarenalnym lub suprarenalnym tętniakiem aorty brzusznej lub tętniakiem piersiowo-brzusznym typu IV lub przeciekiem typu 1. Do badania zostanie włączonych 100 pacjentów. Pacjenci przydzielani są do grupy badanej lub kontrolnej w stosunku 1:1. Obie grupy poddawane są zabiegom operacyjnym wykonania wewnątrznaczyniowej naprawy tętniaka aorty. W grupie badanej implantowany jest stent-graft, który formowany jest na stole operacyjnym przez chirurga przy pomocy oprogramowania PrintGraft. Grupą kontrolną stanowią pacjenci z implantowanym stent-graftem wytwarzanym przez firmę na zamówienie.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **3**

Planowane efekty: pozytywne wyniki przeprowadzonego badania będą mogły posłużyć do wprowadzenia nowego standardu postępowania, który zwiększy efektywność i skuteczność terapeutyczną. Poprzez przewagę ekonomiczną testowanej metody stanie się możliwie leczenie prawie o połowę więcej pacjentów z tzw. "trudnym" tętniakiem aorty brzusznej, u których inne metody są mało skuteczne lub o podwyższonym poziomie ryzyka śmierci w okresie pooperacyjnym.

2.1.25. Projekt nr 2020/ABM/01/00125

Obszar badawczy: transplantacja. Główny Badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu wraz z partnerami. Kwota dofinansowania: 16 960 562,80 zł (100% wartości projektu).

Zastosowanie specyficznych limfocytów przeciwwirusowych w leczeniu opornych zakażeń po allogenicznym przeszczepieniu hematopoetycznych komórek macierzystych.

Założona liczba pacjentów: **100**

Przeszczepienie hematopoetycznych komórek krwiotwórczych jest metodą ratującą życie, ale wiąże się z wysokim ryzykiem powikłań zakaźnych, w tym ryzykiem ciężkich zakażeń wirusowych spowodowanych ciężką niewydolnością odporności swoistej w układzie limfocytów T, co prowadzi do licznych zakażeń oportunistycznych powodowanych przez wirusy cytomegalii (CMV), Epstein-Barr (EBV), adenowirusy (ADV) i wirusy polyoma (BKV i JCV). W celu immunoterapii opornych zakażeń wirusowych jest możliwe wykorzystanie wlewu limfocytów od dawcy przeszczepu, lub częściowo zgodnego zdrowego dawcy limfocytów, pod warunkiem przynajmniej częściowej zgodności MHC (ang. *Major Histocompatibility Complex*). Najbardziej selektywną metodą immunoterapii jest podawanie limfocytów o specyficznej aktywności przeciwwirusowej (ang. *Viral Specific T-Lymphocytes*, VST).

Celem badania jest określenie bezpieczeństwa i wykonalności preparatów VST od dawców hematopoetycznych komórek macierzystych lub zdrowych, niespokrewnionych dawców. Pierwszorzędowym celem będzie ocena zmniejszenia lub eliminacji wiremii po podaniu VST. Drugorzędowymi celami będą ocena przeżycia pacjentów, określenie bezpieczeństwa VST, oznaczenie aktywności przeciwwirusowej we krwi biorcy VST i zbadanie okresu przeżywalności VST w okresie pierwszych 12 miesięcy po podaniu. Do badania będą kwalifikowani pacjenci, po nieskutecznym leczeniu w przypadku zakażenia CMV z wykorzystaniem drugiej linii terapii (gancyklowir/walgancyklowir oraz foscarnet) przez co najmniej 2 tygodnie, w przypadku wirusów EBV, ADV, BKV – nieskutecznej jednej linii leczenia przez 3 tygodnie, a w przypadku wirusa JCV – od razu po wykryciu systemowego zakażenia. Zaplanowana interwencja terapeutyczna polega na pobraniu od dawcy hematopoetycznych komórek macierzystych albo częściowo zgodnego w HLA (ang. *Human Leukocyte Antygen*) spokrewnionego dawcy rodzinnego lub alternatywnego z wykorzystaniem separatora Spectra Optia aferezatu niestymulowanych leukocytów, a następnie izolacji specyficznych limfocytów przeciwwirusowych (VST) aktywnych przeciwko co najmniej jednemu z czynników zakażeń oportunistycznych (ADV, BKV, CMV, EBV lub JCV) za pomocą systemu Cytokine Capture System z wykorzystaniem urządzeń CliniMacs Prodigy.

Planowane efekty: włączenie proponowanej terapii do standardowego postępowania terapeutycznego u pacjentów z ciężkimi, nie odpowiadającymi na farmakoterapię zakażeniami wirusowymi.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: **1**

2.2. Metoda ewaluacji

2.2.1. Wstępna analiza danych

Wstępna analiza danych ewaluowanych projektów została przeprowadzona na podstawie wniosków o dofinansowanie, raportów cząstkowych składanych w trakcie realizacji oraz wyników I ewaluacji formatywnej projektów. Analiza dotyczyła ogólnej charakterystyki obszarów badawczych, deklarowanej liczby pacjentów objętych badaniem klinicznym, poziomu rekrutacji i podstawowych informacji z zakresu finansowania projektów. Analiza zebranych dwa lata wcześniej wyników skupiła się na: terminowości realizacji poszczególnych etapów projektów, współpracy z ośrodkami badawczymi oraz z pozostałymi interesariuszami (w tym z ABM), analizie zmian w projektach, stwierdzonych problemach oraz proponowanych środkach zaradczych. Wyniki wcześniejszej analizy zostały wykorzystane przy przygotowaniu części badawczej ewaluacji.

2.2.2. Część badawcza ewaluacji – ankiety ilościowe dla głównych badaczy / osób odpowiedzialnych za realizację projektów

Na podstawie wstępnej analizy danych pochodzących z wniosków o dofinansowanie oraz raportów cząstkowych składanych co 6 miesięcy, jak również wyników wywiadów jakościowych przeprowadzonych podczas realizacji pierwszej ewaluacji formatywnej opracowana została ankieta ilościowa, która została skierowana do głównych badaczy / osób odpowiedzialnych za realizację projektu. Ankieta ta została opracowana jako badanie CAWI (ang. *Computer-Assisted Web Interview)* przy wsparciu oprogramowania LimeSurvey Community Edition.

Do 25 głównych badaczy odpowiedzialnych za realizację projektów rozesłane zostały zaproszenia e-mail wraz z linkiem do ankiety. Etap zbierania danych od beneficjentów był realizowany między czerwcem a lipcem 2025 roku. Ankiety zawierały zarówno pytania zamknięte (wybór odpowiedzi z listy) jak i pytania otwarte pozwalające na swobodną wypowiedź czy podanie własnego uzasadnienia przez respondentów. Ankieta ilościowa CAWI stanowi Załącznik do niniejszego raportu.

3. Ewaluacja

W ramach niniejszej ewaluacji szczegółowo przeanalizowane zostały zmiany odnotowane na poszczególnych etapach realizacji projektów w trakcie ich trwania, tzn. między pomiarami dokonanymi na początku realizacji projektów lub w trakcie I ewaluacji (w zależności od rodzaju danych), a pomiarami dokonanymi w trakcie II ewaluacji. Analizie poddane zostały zmiany związane z:

- planowanym czasem realizacji projektów,
- całkowitym planowanym czasem leczenia pacjentów,
- planowaną rekrutacją pacjentów,
- rejestracją badania klinicznego,
- współpracą z ośrodkami badawczymi,
- współpracą z jednostkami administracyjnymi,
- współpracą z jednostkami wspierającymi realizację (CRO, CWBK),
- faktyczną rekrutacją pacjentów,
- zmianami w projektach,
- gospodarowaniem finansami projektów,
- upowszechnianiem i wykorzystaniem wyników badań,
- współpracą z ABM.

3.1. Planowany czas trwania oraz terminy realizacji projektów

W ramach przeprowadzonego konkursu maksymalny czas trwania projektu został ograniczony do 72 miesięcy. Wnioskodawcy mogli jednak sami określać czas realizacji projektu obejmujący proces rejestracji badania klinicznego, jego realizację oraz przeanalizowanie danych i zakończenie projektu. Pierwotny czas realizacji każdego z 25 projektów zawierał się między 42 a 72 miesiącami, z medianą wynoszącą 72 miesiące.

Po podpisaniu umów o dofinansowanie z beneficjentami, ABM wyraziła zgodę na przesunięcie dat rozpoczęcia projektów w 7 przypadkach. Przesunięcia te wynosiły:

- 1 miesiąc w 1 projekcie,
- między 2 a 3 miesiące w 4 projektach,
- 5 miesięcy w 2 projektach.

We wszystkich projektach przesunięcie dat rozpoczęcia realizacji wynikało z opóźnień w ogłoszeniu wyników konkursu oraz wydłużającego się procesu podpisywania umów, przez co terminy realizacji wskazane w WoD były wcześniejsze niż data podpisania umowy i faktyczne rozpoczęcie badań.

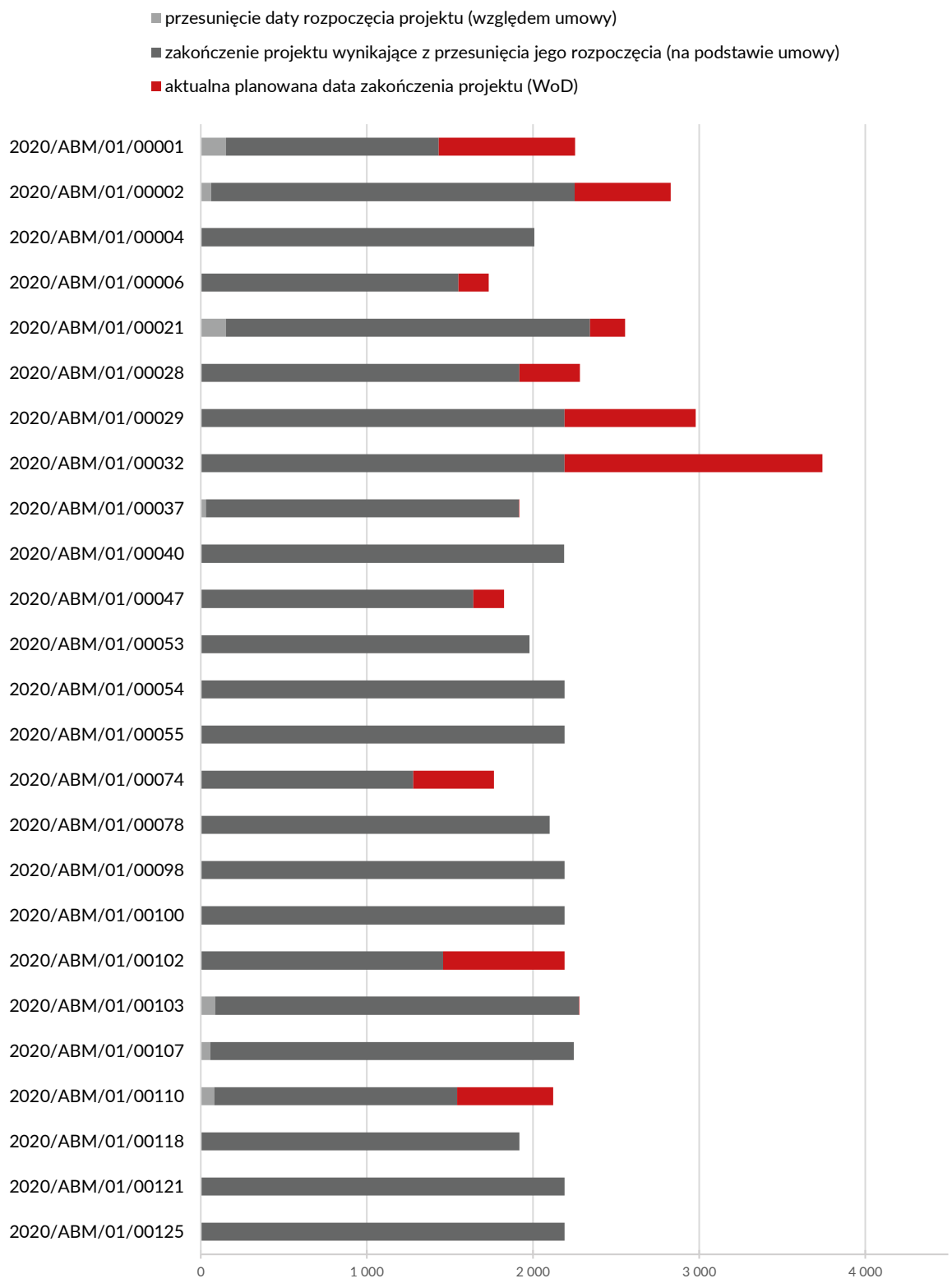
W trakcie trwania realizacji projektów beneficjenci zgłaszali do ABM wnioski o wydłużenie czasu realizacji projektów. Obecny czas realizacji projektów zawiera się między 57 a 123 miesiącami, z medianą wynoszącą nadal 72 miesiące. Wnioski o zmianę czasu realizacji projektów złożyło 12 beneficjentów. Żaden z beneficjentów nie wystąpił o skrócenie czasu realizacji. Wśród 12 wniosków o wydłużenie projektu ABM zaakceptowała:

- 3 wnioski o wydłużenie czasu realizacji projektu między 1 a 6 miesięcy,
- 2 wnioski o wydłużenie czasu realizacji projektu między 7 a 12 miesięcy,

- 4 wnioski o wydłużenie czasu realizacji projektu między 13 a 24 miesiące,
- 3 wnioski o wydłużenie czasu realizacji projektu powyżej 24 miesięcy.

Mediana zaakceptowanego wydłużenia projektu wyniosła 18 miesięcy. Na wykresie 1 zaprezentowane zostały zmiany w terminach realizacji poszczególnych ewaluowanych projektów.

Wykres 1. Zmiany w terminach realizacji projektów (liczone w dniach kalendarzowych – oś X) [N=25]

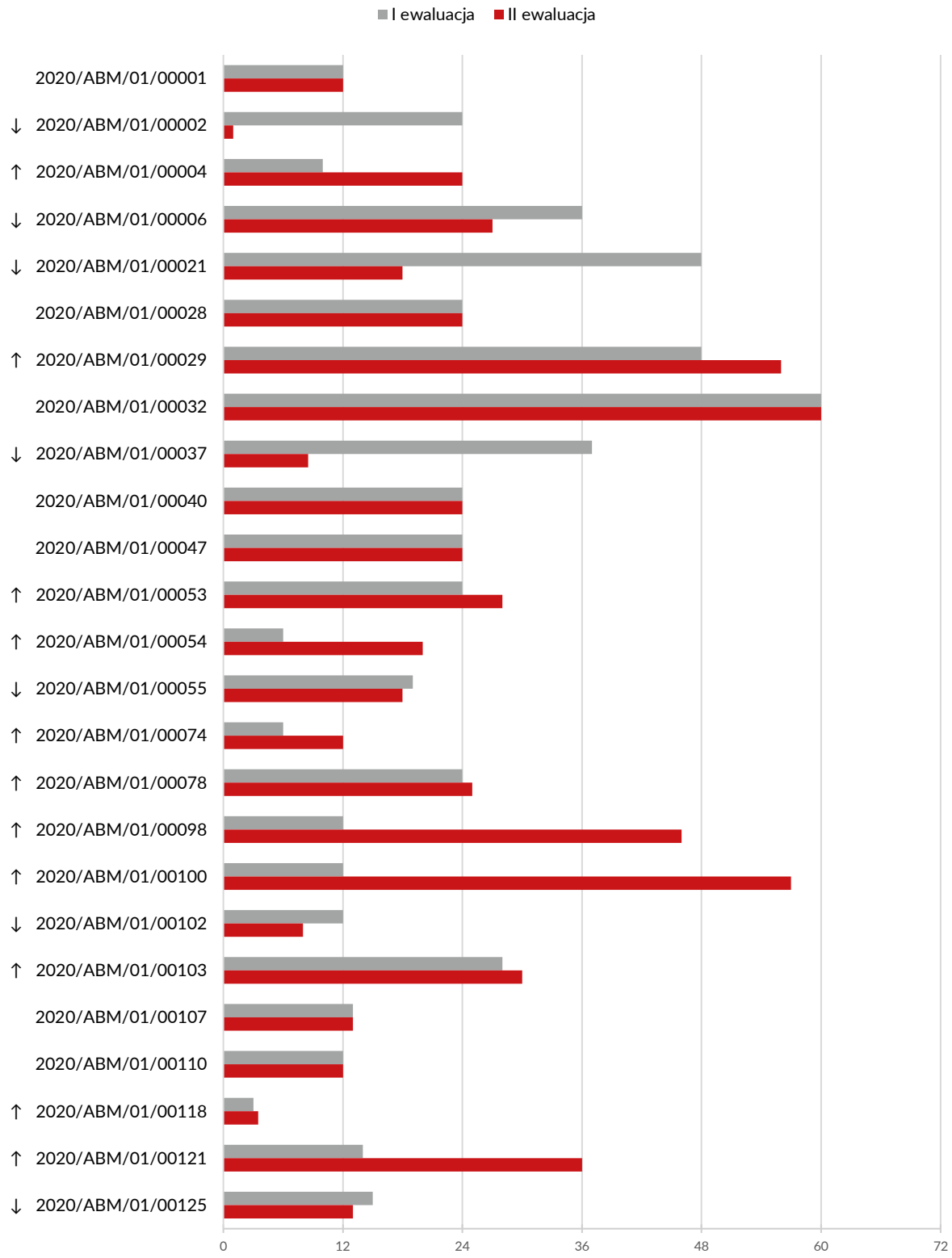


3.2. Całkowity planowany czas leczenia pacjentów

W trakcie realizacji projektów beneficjenci zgłosili zmiany w planowanym czasie trwania leczenia pacjentów (screening, leczenie, monitoring oraz follow up). Między pierwszą, a drugą ewaluacją projektów czas ten został zmieniony w 18 projektach. W 7 projektach czas ten został skrócony, a w 11 projektach wydłużony. Mediana czasu pracy z pacjentami wydłużyła się z 19 miesięcy (pomiar na etapie pierwszej ewaluacji) do 24 miesięcy (pomiar na etapie drugiej ewaluacji).

Szczegółowe dane dla wszystkich projektów zostały zaprezentowane na wykresie 2.

Wykres 2. Zmiany w całkowitym planowanym czasie leczenia pacjentów (liczone w miesiącach – oś X), w poszczególnych projektach [N=25][4]



[4] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, dla których zwiększono lub zmniejszono całkowity planowany czas leczenia pacjentów w projekcie.

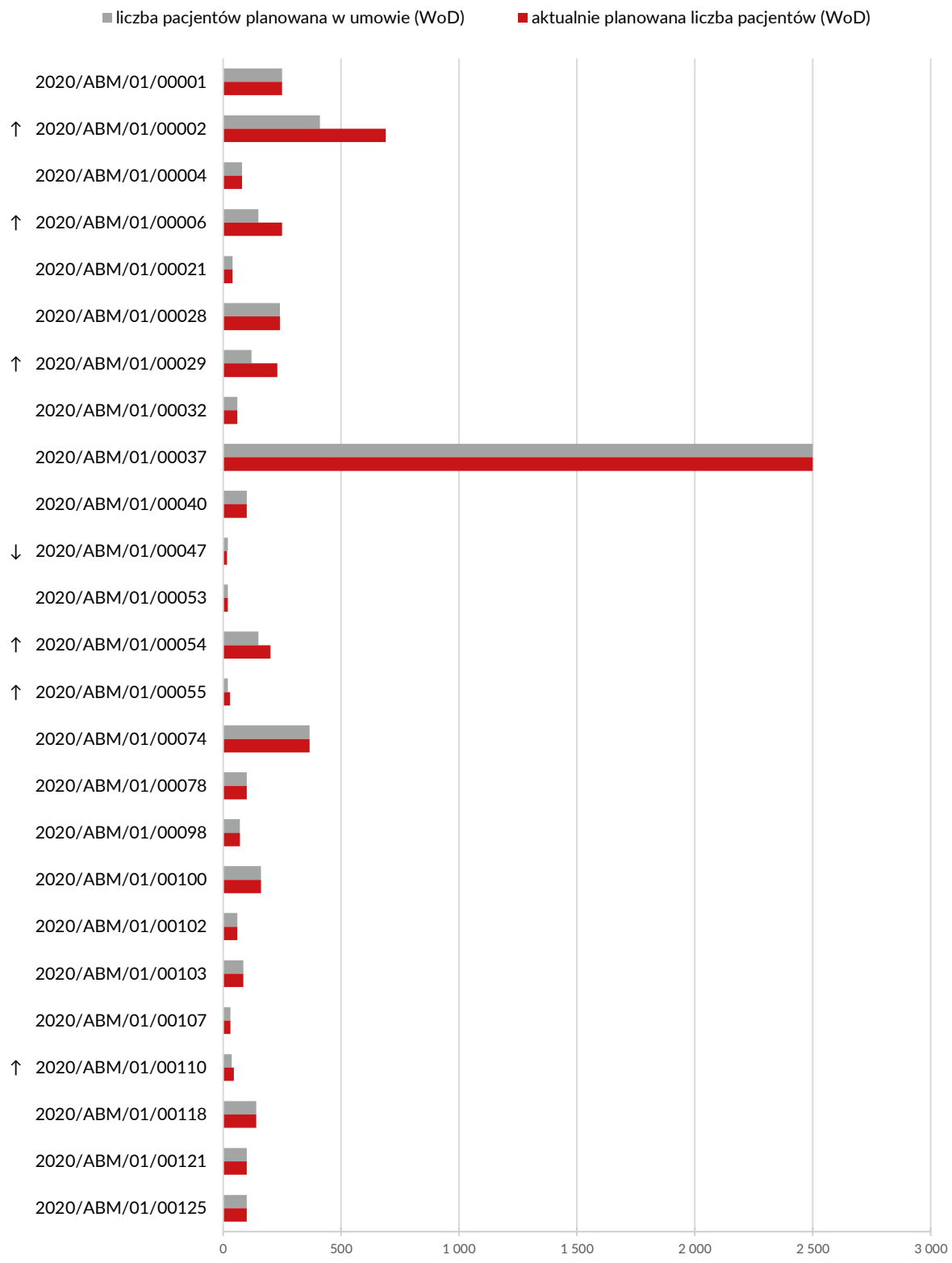
3.3. Planowana rekrutacja pacjentów

Porównanie zadeklarowanej liczby pacjentów objętych badaniami klinicznymi w ramach 25 projektów włączonych do ewaluacji pokazuje wzrost całkowitej liczby pacjentów w stosunku do pierwotnych założeń o około 10,2%. Początkowo (na etapie podpisywania umów o dofinasowanie) deklarowano realizację badań z udziałem 5 408 pacjentów, natomiast po wprowadzonych zmianach liczba ta wzrosła do 5 961, co oznacza zwiększenie ogólnej populacji objętej badaniami klinicznymi o 553 pacjentów.

- zwiększenie liczby rekrutowanych pacjentów zawnioskowali beneficjenci 6 projektów (odpowiednio o 25,0%, 33,3%, 40,0%, 66,7%, 68,3% i 91,7%),
- zmniejszenie liczby rekrutowanych pacjentów o 20% zawnioskował jeden Beneficjent.

Szczegółowe dane zostały zaprezentowane na wykresie 3.

Wykres 3. Zmiany w planowanej liczbie pacjentów – oś X, w poszczególnych projektach [N=25][5]



[5] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, dla których zwiększono lub zmniejszono liczbę pacjentów planowanych w projekcie w stosunku do pierwotnej umowy.

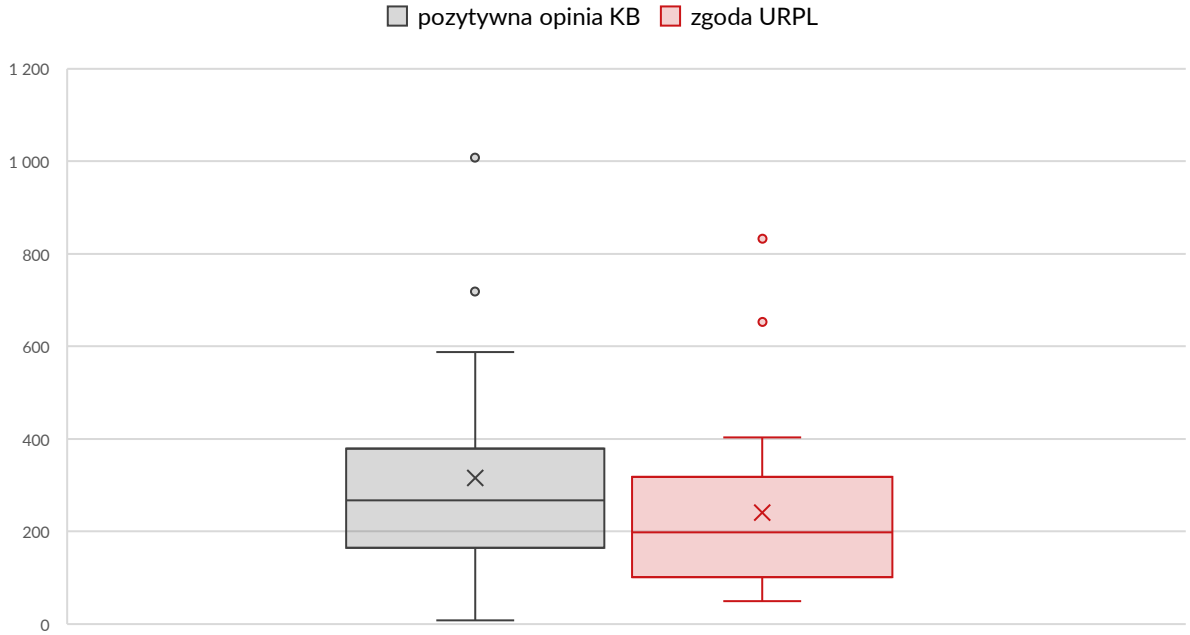
3.4. Rejestracja badania klinicznego

Do czasu przeprowadzenia pierwszej ewaluacji wszystkie projekty uzyskały pozytywną opinię Komisji Bioetycznej (KB) na realizację badań natomiast 3 projekty (2020/ABM/01/00053, 2020/ABM/01/00107 i 2020/ABM/01/00125) oczekiwały na pozwolenie na przeprowadzenie badania klinicznego od Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL). Aktualnie wszystkie 25 projektów poddanych drugiej ewaluacji posiada pozwolenie URPL na realizację badań klinicznych. Mediana czasu oczekiwania na pozytywną opinię KB liczona od daty rozpoczęcia projektu do dnia otrzymania opinii KB w odniesieniu do wszystkich projektów wyniosła 271 dni kalendarzowych. Mediana czasu oczekiwania na zgodę URPL liczona od dnia złożenia wniosków do URPL wyniosła 188 dni kalendarzowych. Czas oczekiwania na zgodę URPL w 3 projektach, które nie posiadały zgody URPL na realizację badań na etapie pierwszej ewaluacji wyniósł:

- 833 dni kalendarzowych dla projektu 2020/ABM/01/00053,
- 653 dni kalendarzowych dla projektu 2020/ABM/01/00107,
- 877 dni kalendarzowych dla projektu 2020/ABM/01/00125.

Opisane powyżej projekty dotyczyły zaawansowanych terapii medycznych (ang. *Advanced Therapy Medicinal Products*, *ATMP*). Szczegółowe informacje o rozkładach czasu oczekiwania na uzyskanie pozytywnych opinii KB i zgód URPL zostały przedstawione na wykresie 4.

Wykres 4. Podstawowe parametry rozkładu czasu oczekiwania (dni kalendarzowe – oś Y) na uzyskanie pozytywnej opinii KB i zgody URPL na realizację badań w projektach [N=25][6]



[6] Linie poziome na wykresie typu „skrzynka – wąsy" oznaczają kolejno: wartość minimalną; kwartyl 1(Q1) – 25%; medianę (50%), kwartyl 3 (Q3) - 75% i wartość maksymalną. Punkty wskazują wartości odstające. X – oznacza wartość średnią.

3.5. Współpraca z ośrodkami badawczymi

Beneficjenci 17 projektów zdecydowali się zaangażować inne niż własne ośrodki, których rolą jest współuczestniczenie w badaniu klinicznym. W 8 projektach zaplanowano realizację badania jedynie w jednym ośrodku własnym. Liczba ośrodków rekrutujących pacjentów, zaplanowana na etapie podpisywania umów o dofinansowanie (łącznie z ośrodkami sponsorów) wyniosła 106.

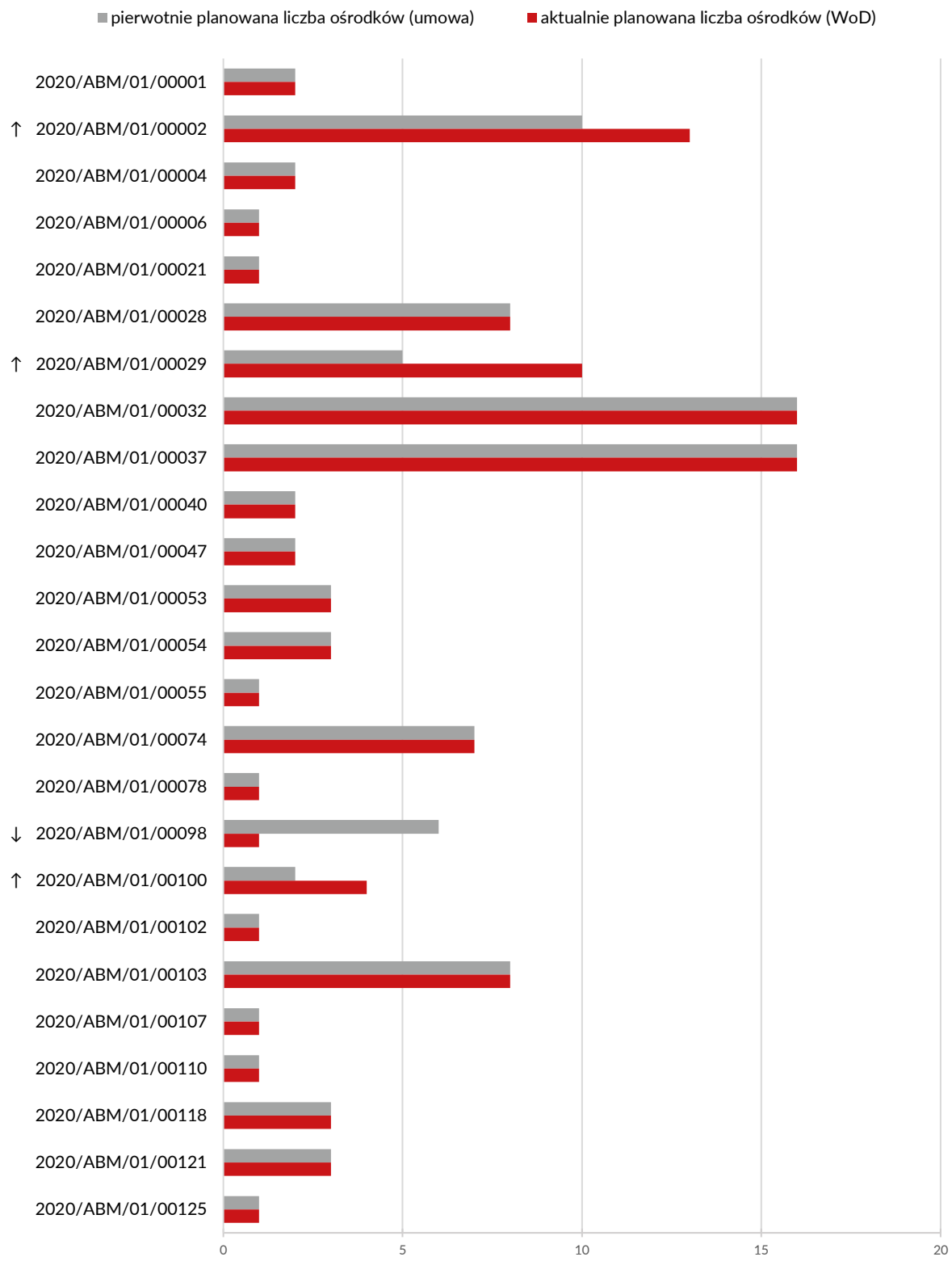
W trakcie realizacji badań w 4 projektach Sponsorzy wprowadzili zmiany w zaplanowanej liczbie współpracujących ośrodków:

- w 3 projektach zwiększono liczbę ośrodków zadeklarowanych we wniosku o dofinansowanie,
- w 1 projekcie zmniejszono liczbę ośrodków zadeklarowanych we wniosku o dofinansowanie.

Najwyższy wzrost zaplanowanej liczby ośrodków (z 5 do 10) dotyczył projektu 2020/ABM/01/00029, a największy spadek zaplanowanej liczby ośrodków (z 6 do 1) dotyczył projektu 2020/ABM/01/00098. W sumie na etapie drugiej ewaluacji Sponsorzy zaplanowali udział 111 ośrodków (łącznie z ośrodkami własnymi).

Szczegółowe dane dotyczące zmian w zaplanowanej liczbie ośrodków uczestniczących w projektach zaprezentowane zostały na wykresie 5.

Wykres 5. Zmiany w planowanej liczbie ośrodków – oś X, w poszczególnych projektach [N=25][7]

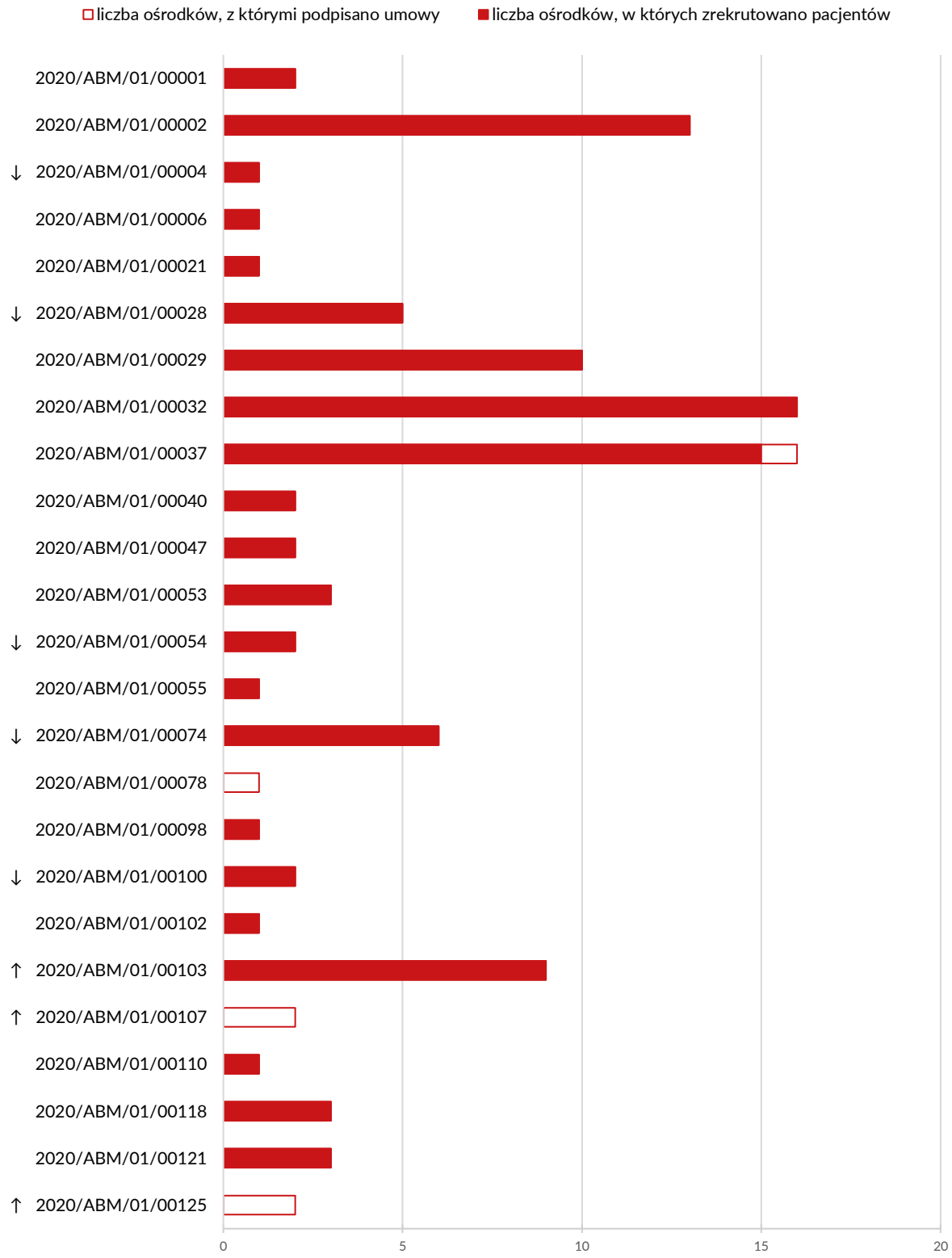


[7] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, dla których zwiększono lub zmniejszono planowaną liczbę ośrodków w stosunku do pierwotnej umowy.

Na etapie pierwszej ewaluacji Sponsorzy wykazali 75 podpisanych umów z ośrodkami na realizację badań. Na etapie drugiej ewaluacji liczba podpisanych umów z ośrodkami wzrosła do 106, co stanowi 95,5% wszystkich zaplanowanych we wnioskach o dofinansowanie. Wszyscy beneficjenci mają podpisaną przynajmniej jedną umowę z ośrodkami partnerskimi.

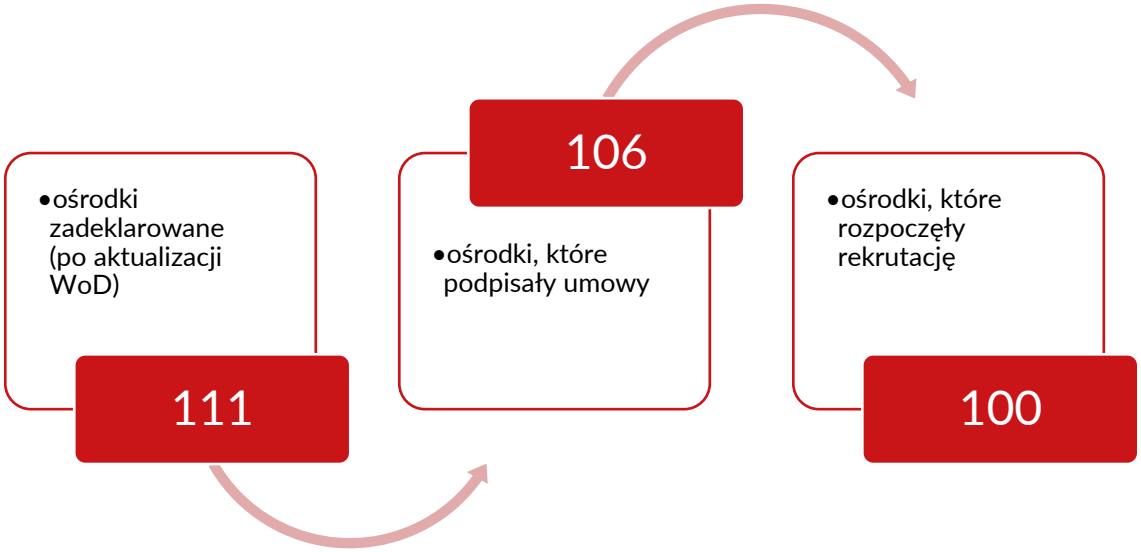
Ze 106 ośrodków, z którymi podpisano umowy w 6 rekrutacja jeszcze się nie rozpoczęła, w 86 trwa, a w 14 została już zakończona. Szczegółowe dane obrazujące liczbę podpisanych umów z ośrodkami oraz liczbę ośrodków, w których zrekrutowano pacjentów w poszczególnych projektach przedstawione zostały na wykresie 6, a podsumowanie stanu współpracy z ośrodkami zaprezentowane zostało na wykresie 7.

Wykres 6. Liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy i w których zrekrutowano pacjentów – oś X, na dzień wypełniania ankiety (włączając ośrodki macierzyste) w projektach [N=25][8]



[8] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, w których liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy jest odpowiednio wyższa lub niższa od aktualnie planowanej liczby ośrodków (WoD).

Wykres 7. Podsumowanie stanu współpracy z ośrodkami w analizowanych projektach [N=25]

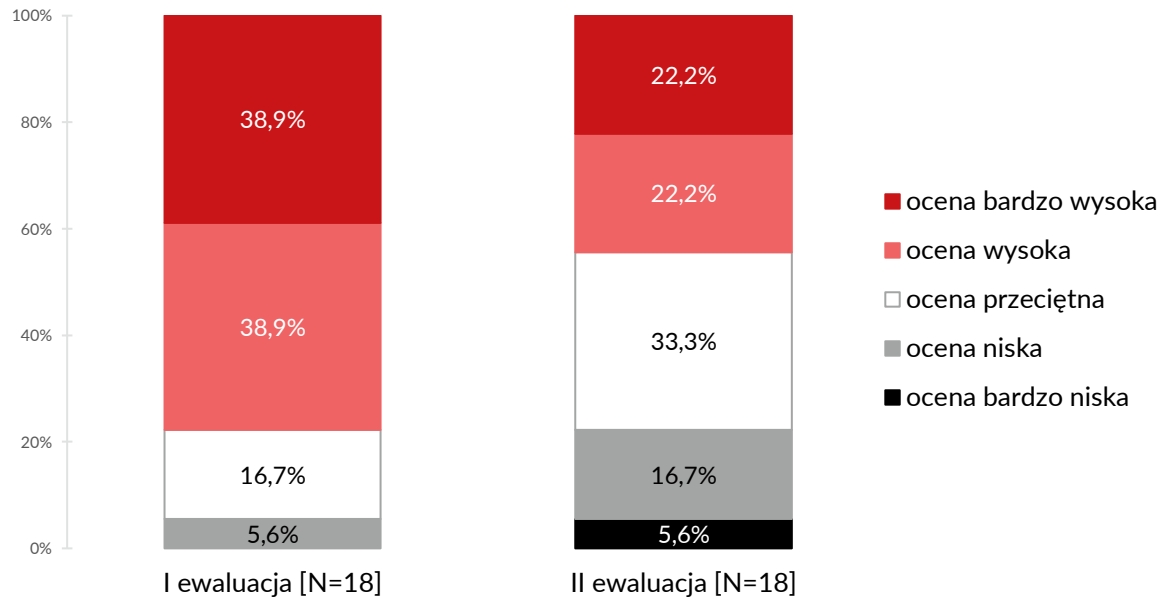


Na etapie obu ewaluacji badacze zostali poproszeni o ocenę jakości współpracy z ośrodkami, w których zrekrutowano pacjentów. Ocena ta została dokonana na skali od 1 (ocena bardzo niska) do 5 (ocena bardzo wysoka). Porównanie ocen przyznanych w obu ewaluacjach wskazuje na negatywną zmianę oceny współpracy z ośrodkami:

- średnia ocena współpracy z ośrodkami w drugiej ewaluacji wyniosła 3,4 ± 1,2 wobec 4,1 ± 0,9 dla pierwszej ewaluacji,
- mediana ocen spadła z 4,0 w pierwszej ewaluacji do 3,0 w drugiej ewaluacji,
- wskaźnik ocen negatywnych (ocena niska lub bardzo niska) wzrósł z 6% w pierwszej ewaluacji do 23% w drugiej ewaluacji,
- wskaźnik ocen przeciętnych wzrósł z 17% w pierwszej ewaluacji do 33% w drugiej ewaluacji,
- wskaźnik ocen najwyższych (ocena wysoka lub bardzo wysoka) zmalał z 78% w pierwszej ewaluacji do 44% w drugiej ewaluacji.

Szczegółowe dane zostały zaprezentowane na wykresie 8.

Wykres 8. Ocena jakości współpracy beneficjentów z ośrodkami badawczymi, w których zrekrutowano pacjentów



3.6. Współpraca z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora

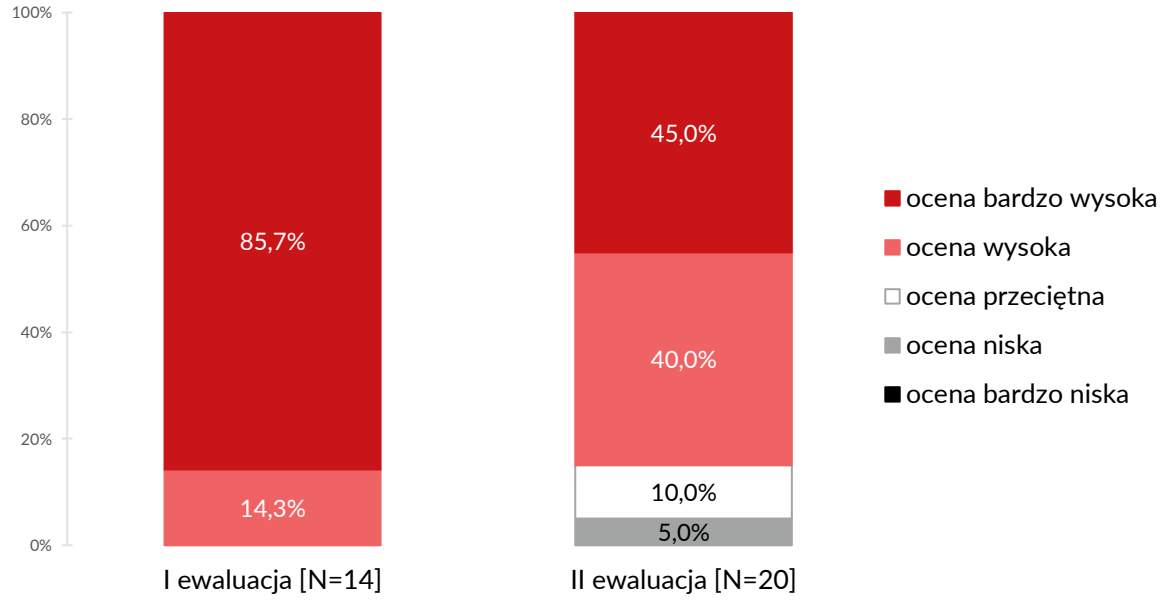
Spośród 25 projektów wyłonionych w konkursie 2020/ABM/01 najwięcej (4) prowadzi Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu. Drugą jednostką pod względem liczby uruchomionych projektów jest Instytut "Pomnik - Centrum Zdrowia Dziecka" (3) i Narodowy Instytut Kardiologii Stefana kardynała Wyszyńskiego - Państwowy Instytut Badawczy (3). Gdański Uniwersytet Medyczny, Uniwersytet Medyczny w Białymstoku, Warszawski Uniwersytet Medyczny oraz Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – PIB oddział (w tym jeden projekt prowadzi oddział w Gliwicach jeden w Warszawie) realizują po 2 projekty. 9 jednostek, które otrzymało w ramach omawianego konkursu dofinansowanie realizuje po jednym badaniu klinicznym.

Na etapie obu ewaluacji badacze zostali poproszeni o ocenę jakości współpracy z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora. Ocena ta została dokonana na skali od 1 (ocena bardzo niska) do 5 (ocena bardzo wysoka). Porównanie ocen przyznanych w obu ewaluacjach wskazuje na negatywną zmianę oceny współpracy z ośrodkami:

- średnia ocena współpracy z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora w drugiej ewaluacji wyniosła 4,3 ± 0,8 wobec 4,9 ± 0,3 dla pierwszej ewaluacji,
- mediana ocen spadła z 5,0 w pierwszej ewaluacji do 4,0 w drugiej ewaluacji,
- wskaźnik ocen negatywnych (ocena niska lub bardzo niska) wzrósł z 0% w pierwszej ewaluacji do 5% w drugiej ewaluacji,
- wskaźnik ocen przeciętnych wzrósł z 0% w pierwszej ewaluacji do 10% w drugiej ewaluacji,
- wskaźnik ocen najwyższych uległ redukcji z 86% w pierwszej ewaluacji do 45% w drugiej ewaluacji.

Szczegółowe dane zostały zaprezentowane na wykresie 9.

Wykres 9. Ocena jakości współpracy beneficjentów z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora



W obu ewaluacjach badacze zgłosili też szereg dodatkowych uwag związanych z procedurami administracyjnymi, które w wyraźny sposób przyczyniły się do opóźnień w realizacji projektów. Zarówno w pierwszej, jak i drugiej ewaluacji zwrócono uwagę na trudności w podpisywaniu umów z ośrodkami. Na etapie drugiej ewaluacji pojawił się również problem ze zbyt wolno działającą administracją jednostki naukowej lub akademickiej oraz konfliktami personalnymi w ośrodkach.

3.7. Współpraca z jednostkami zarządzającymi badaniem klinicznym

Rolą jednostek zarządzających badaniem klinicznym jest zapewnienie realizacji szeregu działań, mających na celu poprawne zarządzanie projektem badania klinicznego. Do działań tych można zaliczyć: pomoc w wyborze i aktywacji ośrodków badawczych, wsparcie w rekrutacji, monitorowanie kliniczne, zarządzanie danymi, logistykę badania, nadzór nad bezpieczeństwem farmakoterapii, biostatystykę oraz pisanie opracowań i analiz medycznych. Na rynku polskim istnieją wyspecjalizowane CRO (ang. *Clinical Research Organization*) oraz Centra Wsparcia Badań Klinicznych – CWBK (utworzone w ramach konkursów ogłaszanych przez ABM), których głównym zadaniem jest obsługa badań niekomercyjnych. Oba typy jednostek działają według tych samych standardów i zasad. W roku ogłoszenia konkursu 2020/ABM/01 CWBK dopiero się tworzyły, dlatego z założenia wszystkie jednostki, które otrzymały dofinansowanie w ramach ewaluowanego konkursu dokonały wyboru CRO, która w trakcie trwania projektu (po powstaniu CWBK) mogła zostać zastąpiona całkowicie lub częściowo przez CWBK.

Na etapie pierwszej ewaluacji 3 beneficjentów nie zaangażowało jeszcze żadnej jednostki zarządzającej badaniem (CRO/CWBK), a na etapie drugiej ewaluacji wsparcia nie miał 1 projekt. Podsumowując współpracę z jednostkami zarządzającymi badaniem klinicznym:

- na etapie pierwszej ewaluacji:
  - 6 sponsorów współpracowało jedynie z CRO,
  - 12 sponsorów współpracowało zarówno z CRO jak i z CWBK,
  - 4 sponsorów współpracowało jedynie z CWBK,
- na etapie drugiej ewaluacji:
  - 11 sponsorów współpracowało jedynie z CRO,
  - 9 sponsorów współpracowało zarówno z CRO jak i z CWBK,
  - 4 sponsorów współpracowało jedynie z CWBK.

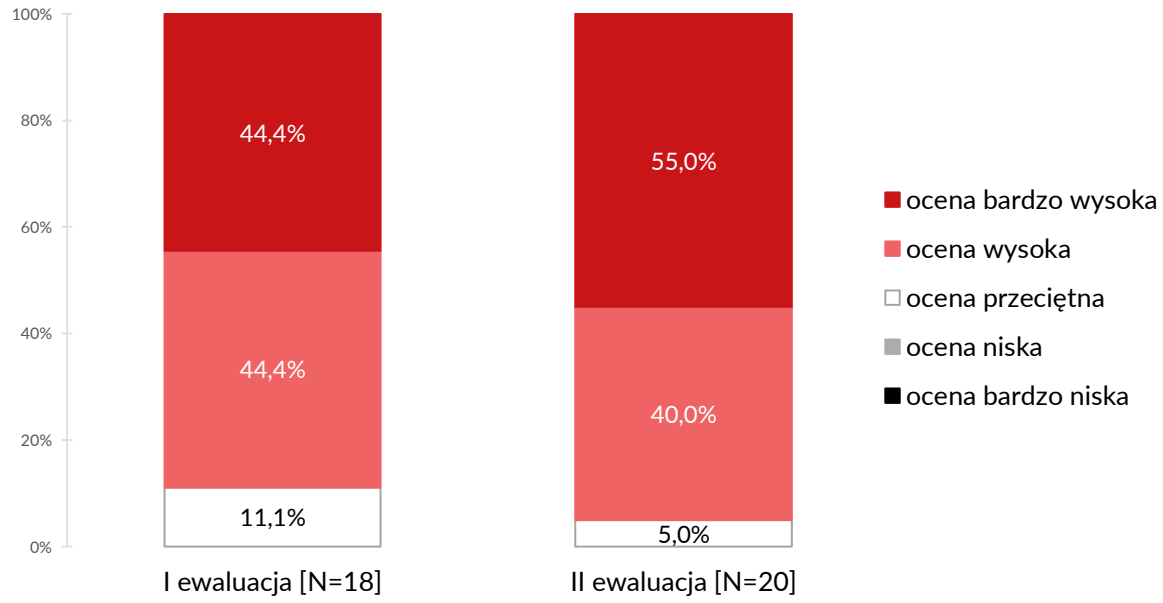
Na etapie obu ewaluacji badacze zostali poproszeni o ocenę jakości współpracy z CRO oraz CWBK. Ocena ta została dokonana na skali od 1 (ocena bardzo niska) do 5 (ocena bardzo wysoka).

Porównanie ocen określających jakość współpracy z CRO w obu ewaluacjach wskazuje na stabilną, pozytywną ocenę:

- średnia ocena współpracy z CRO w drugiej ewaluacji wyniosła 4,5 ± 0,6 wobec 4,3 ± 0,7 dla pierwszej ewaluacji,
- wskaźnik ocen przeciętnych odnotował spadek z 11% w pierwszej ewaluacji do 5% w drugiej ewaluacji,
- wskaźnik ocen pozytywnych (ocena wysoka lub bardzo wysoka) wzrósł z 89% w pierwszej ewaluacji do 95% w drugiej ewaluacji,
- w obu ewaluacjach żaden z beneficjentów nie wystawił oceny niskiej lub bardzo niskiej.

Szczegółowe dane zostały zaprezentowane na wykresie 10.

Wykres 10. Ocena jakości współpracy beneficjentów z CRO

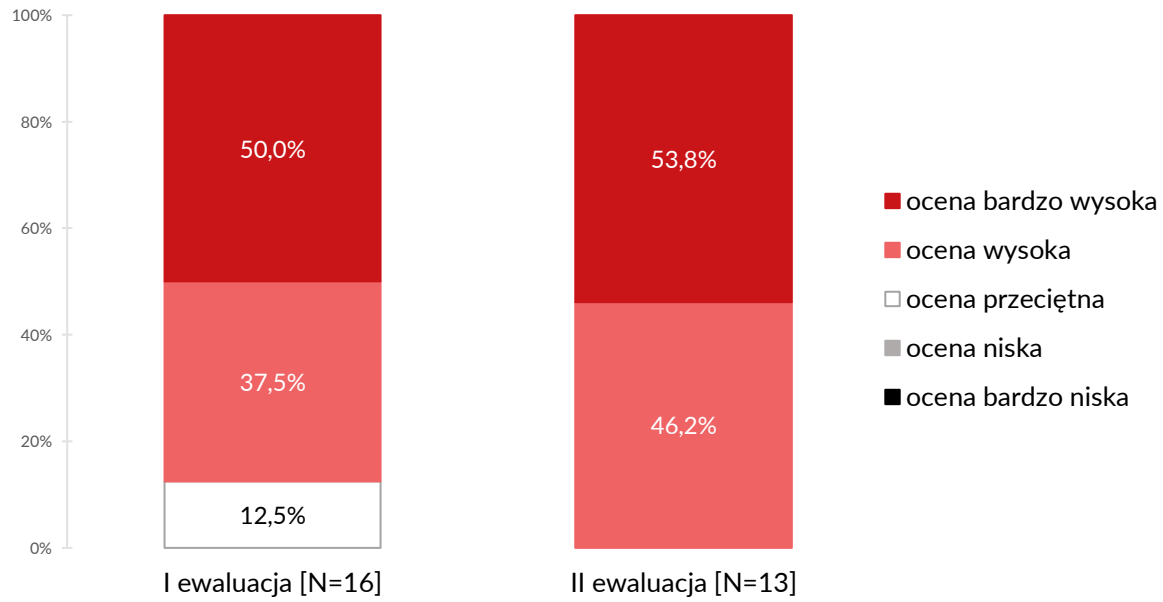


Porównanie ocen określających jakość współpracy z CWBK w obu ewaluacjach również wskazuje na stabilną ocenę tej współpracy.

- średnia ocena współpracy z CWBK w drugiej ewaluacji wyniosła 4,5 ± 0,5 wobec 4,4 ± 0,7 dla pierwszej ewaluacji,
- wskaźnik ocen przeciętnych odnotował spadek z 13% w pierwszej ewaluacji do 0% w drugiej ewaluacji,
- wskaźnik ocen pozytywnych (ocena wysoka lub bardzo wysoka) wzrósł z 88% w pierwszej ewaluacji do 100% w drugiej ewaluacji,
- w obu ewaluacjach żaden z beneficjentów nie wystawił oceny niskiej lub bardzo niskiej.

Szczegółowe dane zostały zaprezentowane na wykresie 11.

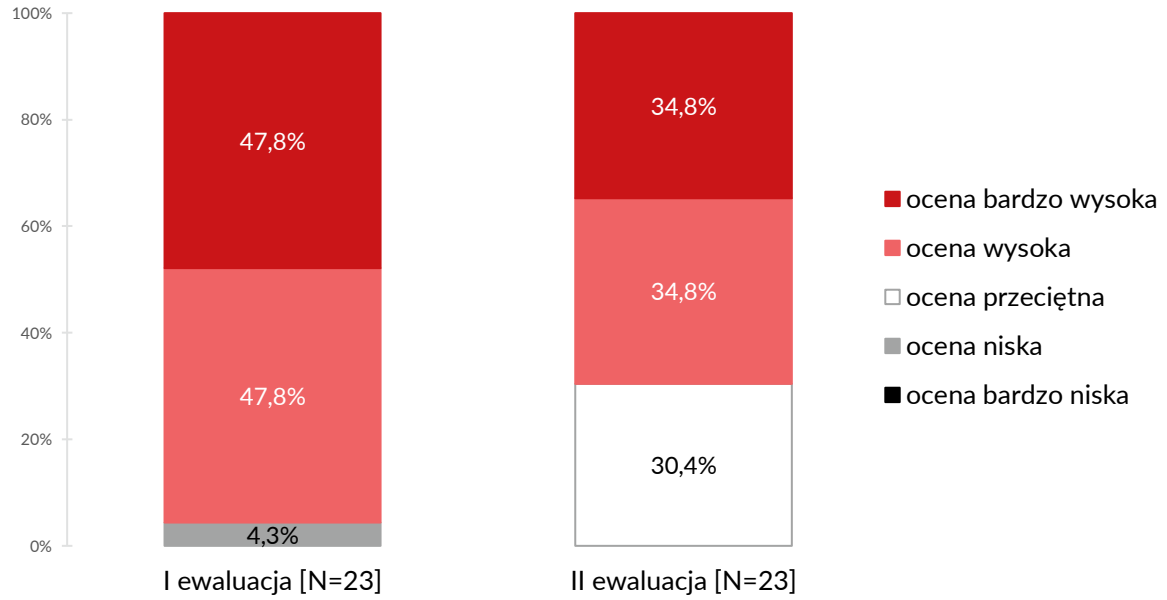
Wykres 11. Ocena jakości współpracy beneficjentów z CWBK



W 23 ewaluowanych projektach zostały opracowane elektroniczne karty obserwacji klinicznej (eCRF). W trakcie drugiej ewaluacji badacze zostali poproszeni o ocenę jakości przygotowanych eCRF. Średnia ocen jakości eCRF w skali od 1 (ocena bardzo niska) do 5 (ocena bardzo wysoka) wyniosła 4,0 ± 0,8 w drugiej ewaluacji wobec 4,4 ± 0,7 w pierwszej ewaluacji.

Szczegółowe dane zostały przedstawione na wykresie 12.

Wykres 12. Ocena eCRF w analizowanych projektach



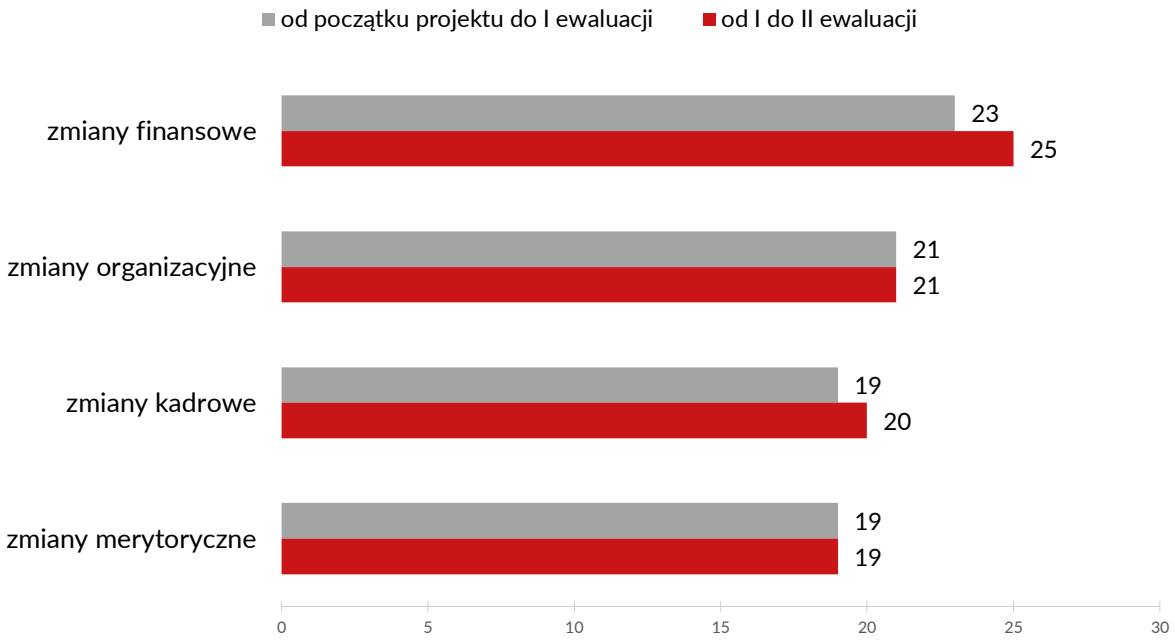
3.8. Zmiany w projektach

Zgłaszanie zmian w projekcie każdorazowo wymaga zgody Agencji i może dotyczyć każdego zadania opisanego we wniosku o dofinansowanie. Kategorie zmian zgłaszanych przez beneficjentów w okresach od początku realizacji projektu do pierwszej ewaluacji oraz od pierwszej do drugiej ewaluacji zostały pogrupowane w czterech głównych obszarach:

- finansowym,
- kadrowym,
- organizacyjnym,
- merytorycznym.

Dane prezentujące główne kategorie zgłaszanych zmiany zostały przedstawione na wykresie 13.

Wykres 13. Liczba projektów, w których zgłaszane były główne obszary zmian [N=25]



Struktura zmian zgłaszanych na etapie obu analizowanych ewaluacji jest bardzo zbliżona. Najczęściej zgłaszanymi zamianami od początku realizowania projektów były zmiany finansowe. Stosunkowo najrzadziej zgłaszane były zmiany merytoryczne.

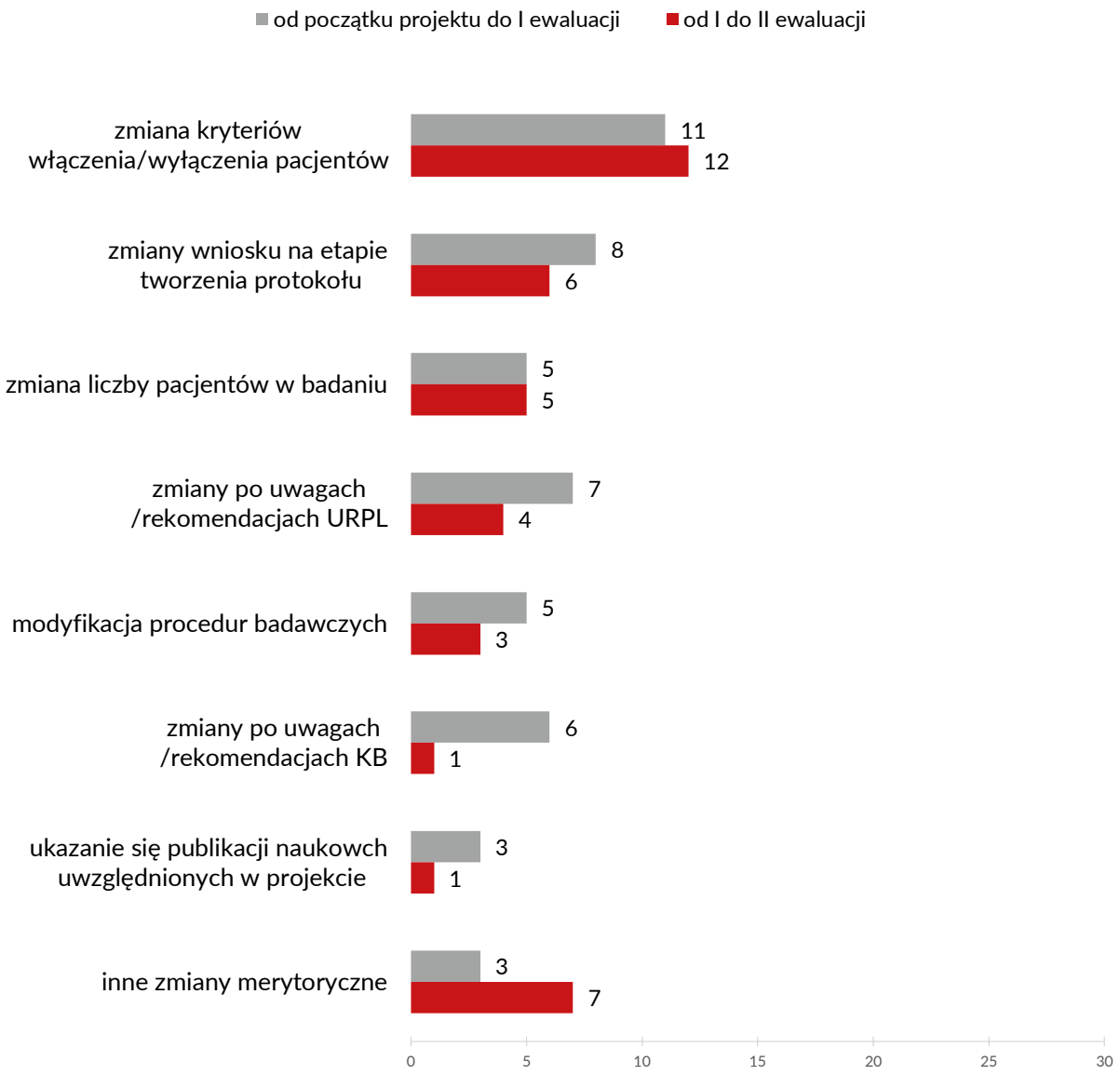
Zmiany finansowe w projektach zostały szczegółowo omówione w rozdziale *Gospodarowanie finansami projektów*.

Na wykresie 14 zaprezentowane zostały szczegółowe kategorie zgłaszanych zmian merytorycznych w protokołach badania. Porównując deklaracje beneficjentów z pierwszej i drugiej ewaluacji można zauważyć zdecydowany wzrost zmian w projektach związany ze zmianą kryteriów włączania/wyłączania pacjentów oraz innych zmian merytorycznych. Inne zmiany dotyczyły m.in. zmiany okresu realizacji projektu, zmiana terminu realizacji follow-up, zmiany treści zgód dla pacjentów.

Naturalny spadek liczby zgłaszanych zmian odnotowano w obszarach związanych z początkowymi fazami realizacji projektów:

- zmiany na etapie tworzenia protokołu,
- zmiany po uwagach/rekomendacjach URPL,
- zmiany po uwagach uwagach/ rekomendacjach KB.

Wykres 14. Liczba projektów, w których zgłaszane były zmiany merytoryczne (w protokole badania klinicznego) [N=25]



3.9. Rekrutacja pacjentów i przebieg badania klinicznego

Z 5 961 pacjentów zaplanowanych aktualnie do rekrutacji we wszystkich analizowanych projektach udało się zrekrutować łącznie:

- 925 pacjentów na etapie pierwszej ewaluacji (16,3% wszystkich zaplanowanych pacjentów),
- 2 259 pacjentów na etapie drugiej ewaluacji (37,9,% wszystkich zaplanowanych pacjentów).

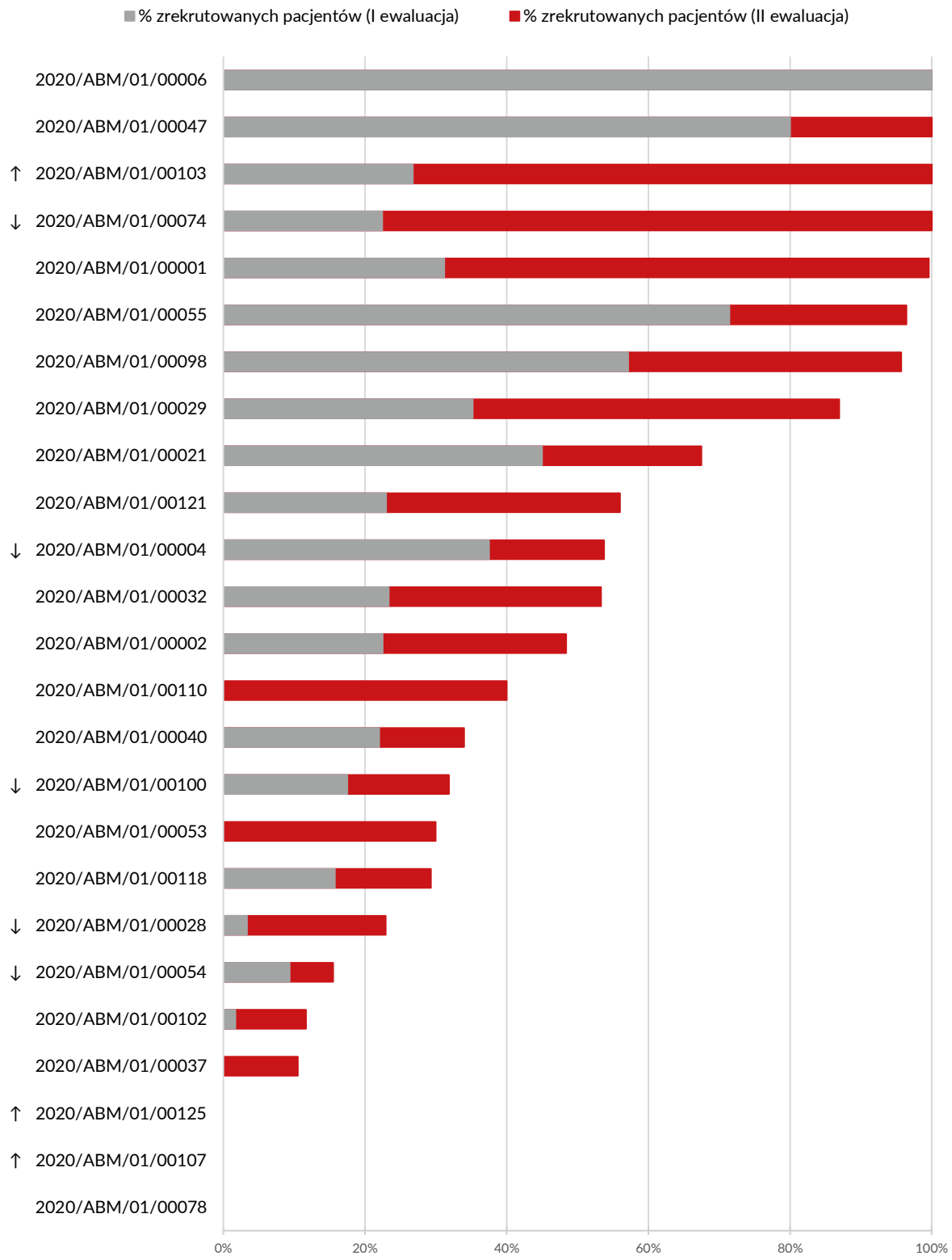
Mediana stopnia rekrutacji pacjentów na etapie pierwszej ewaluacji wynosiła 22%. Na etapie drugiej ewaluacji wartość tej mediany wzrosła do 48%.

Na etapie pierwszej ewaluacji wszystkich pacjentów zrekrutowano tylko do jednego projektu, na etapie drugiej ewaluacji liczba projektów ze 100% rekrutacją wynosi 4.

Na etapie pierwszej ewaluacji odnotowanych zostało 6 projektów, w których nie zrekrutowano żadnego pacjenta. Na etapie drugiej ewaluacji liczba takich projektów spadła do 3.

Szczegółowe dane prezentujące poziom rekrutacji pacjentów na dzień wypełnienia ankiety obu ewaluacji zostały zaprezentowane na wykresie 15.

Wykres 15. Poziom rekrutacji pacjentów w projektach na dzień wypełniania ankiety I ewaluacji oraz ankiety II ewaluacji (odniesiony do aktualnej planowanej liczby pacjentów) [N=25][9]



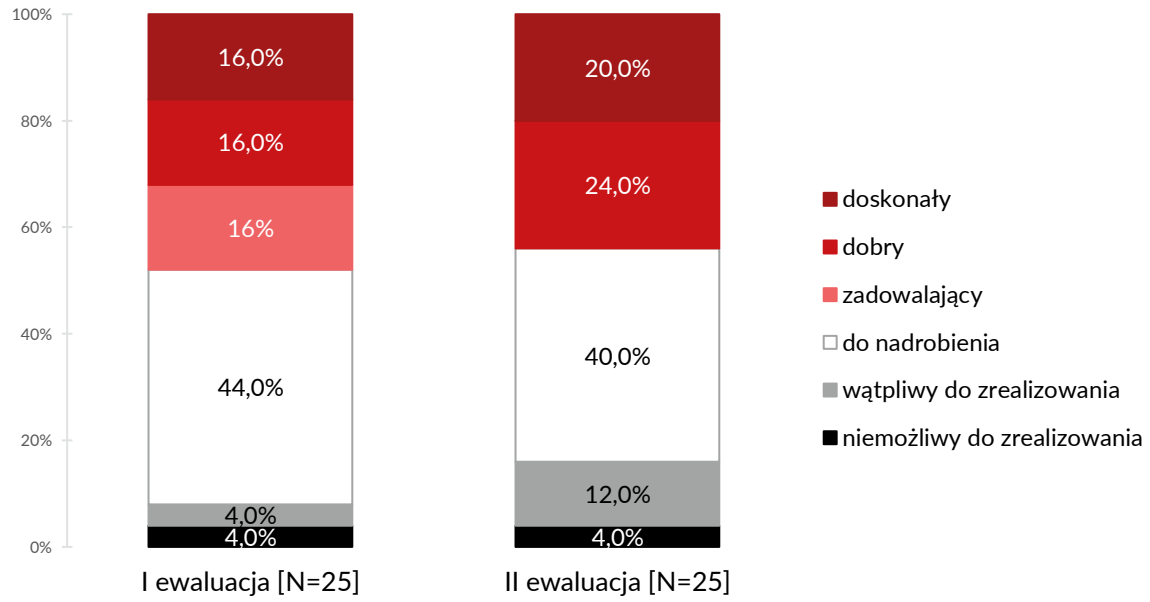
[9] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, w których liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy jest odpowiednio wyższa lub niższa od aktualnie planowanej liczby ośrodków (WoD).

Na etapie obu ewaluacji badacze zostali poproszeni o ocenę jakości stanu rekrutacji w prowadzonym przez nich badaniu klinicznym. Ocena ta została dokonana na skali od 1 (rekrutacja niemożliwa do zrealizowania) do 6 (stan rekrutacji doskonały). Porównanie ocen przyznanych w obu ewaluacjach wskazuje na negatywną zmianę oceny stanu rekrutacji w istotnej części projektów:

- średnia ocena stanu rekrutacji w drugiej ewaluacji wyniosła 3,9 ± 1,5 wobec 3,8 ± 1,3 dla pierwszej ewaluacji
- wskaźnik ocen negatywnych (stan rekrutacji niemożliwy do zrealizowania lub wątpliwy do zrealizowania) wzrósł z 8% na etapie pierwszej ewaluacji do 16% w drugiej ewaluacji,
- wskaźnik ocen stan rekrutacji do nadrobienia spadł z 44% w pierwszej ewaluacji do 40% w drugiej ewaluacji,
- wskaźnik ocen stan rekrutacji zadowalający uległ redukcji z 16% w pierwszej ewaluacji do 0% w drugiej ewaluacji,
- wskaźnik ocen pozytywnych (stan rekrutacji dobry lub doskonały) wzrósł z 32% w pierwszej ewaluacji do 44% w drugiej ewaluacji.

Szczegółowe dane zostały zaprezentowane na wykresie 16.

Wykres 16. Ocena stanu rekrutacji projektach



W 20 na 25 projektów badacze podjęli działania mające na celu ograniczenie opóźnień w rekrutacji pacjentów. Jako środki zaradcze lub działania następcze na skutek wolniejszego niż przewidziane we wniosku o dofinansowanie tempa rekrutacji:

- 20 głównych badaczy organizuje spotkania i kontaktuje się z zespołami badawczymi, ośrodkami oraz pacjentami,
- 11 głównych badaczy zintensyfikowało działania promocyjne – opracowano m.in. broszury, plakaty i filmy dla pacjentów

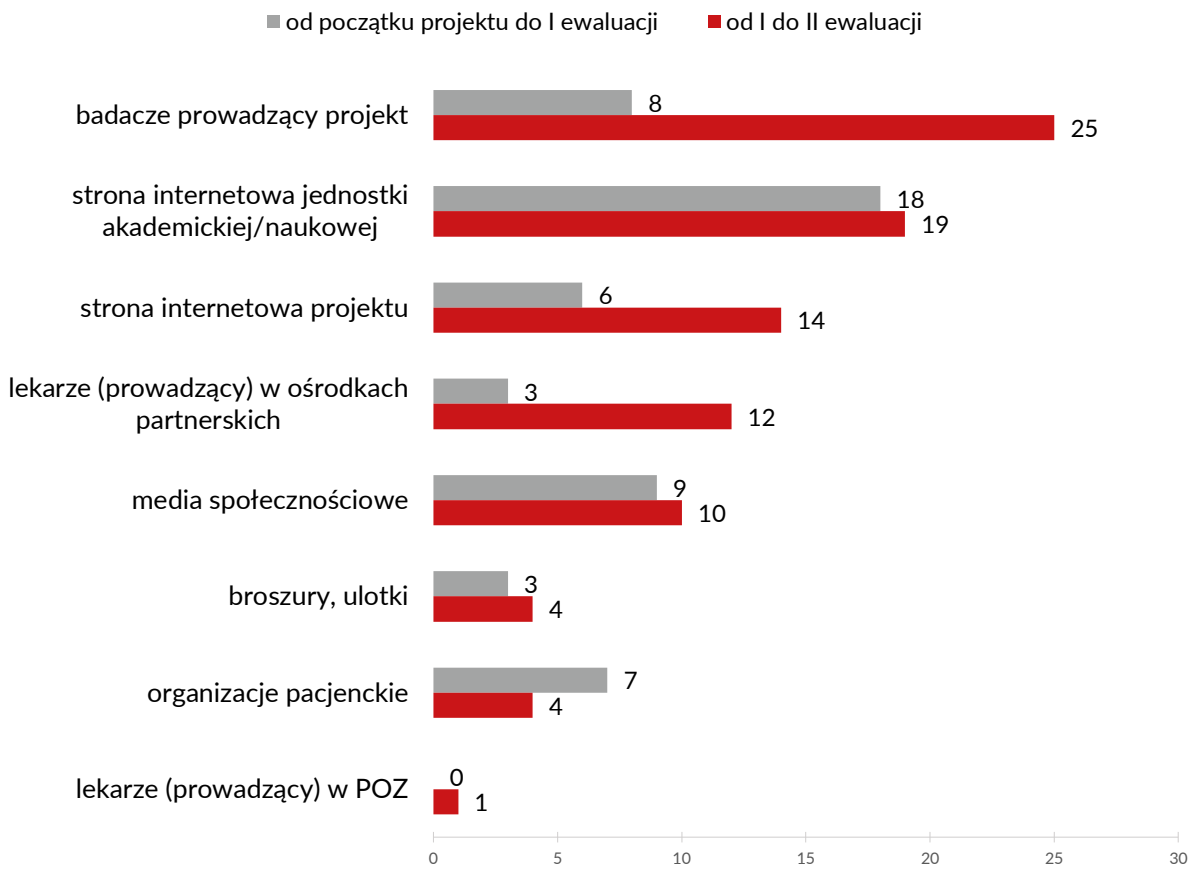
- 4 głównych badaczy wprowadziło zmiany w protokole badania i złagodziło kryteria włączenia do projektu.

Analizie poddano związek między poziomem faktycznej rekrutacji osiągniętej na etapie drugiej ewaluacji, a oceną stanu rekrutacji na tym etapie dokonaną przez badaczy. Obliczona została mediana stanu rekrutacji pacjentów w poszczególnych grupach wyróżnionych ze względu na ocenę stanu rekrutacji dokonaną przez badaczy:

- dla 4 projektów, w których stan rekrutacji oceniony został jako niemożliwy do zrealizowania lub wątpliwy do zrealizowania mediana rekrutacji pacjentów wyniosła 23%,
- dla 10 projektów, w których stan rekrutacji oceniony został jako do nadrobienia mediana rekrutacji pacjentów wyniosła 26%,
- dla 11 projektów, w których stan rekrutacji oceniony został jako dobry lub doskonały mediana rekrutacji pacjentów wyniosła 96%,

Na obu etapach ewaluacji badacze zostali poproszeni o wskazanie głównych form rozpowszechniania informacji o prowadzonym badaniu klinicznym. Analiza zmian między pierwszą a drugą ewaluacją wskazała na wzrost liczby sposobów informowania pacjentów o prowadzonym badaniu w prawie wszystkich analizowanych kategoriach odpowiedzi (z wyjątkiem informowania organizacji pacjenckich). Na etapie pierwszej ewaluacji badacze wykorzystali łącznie 54 kanały komunikacji, czyli średnio 2,2 kanały na projekt. Na etapie drugiej ewaluacji było to łącznie 89 wskazania, czyli średnio 3,6 wykorzystanych kanałów komunikacji w każdym projekcie. Największy wzrost odnotowany został w zaangażowaniu badaczy prowadzących projekt (z 8 projektów wykorzystujących tę formę informacji dla potencjalnych pacjentów na etapie pierwszej ewaluacji do 25 projektów). Szczegółowe dane zostały zobrazowane na wykresie 17.

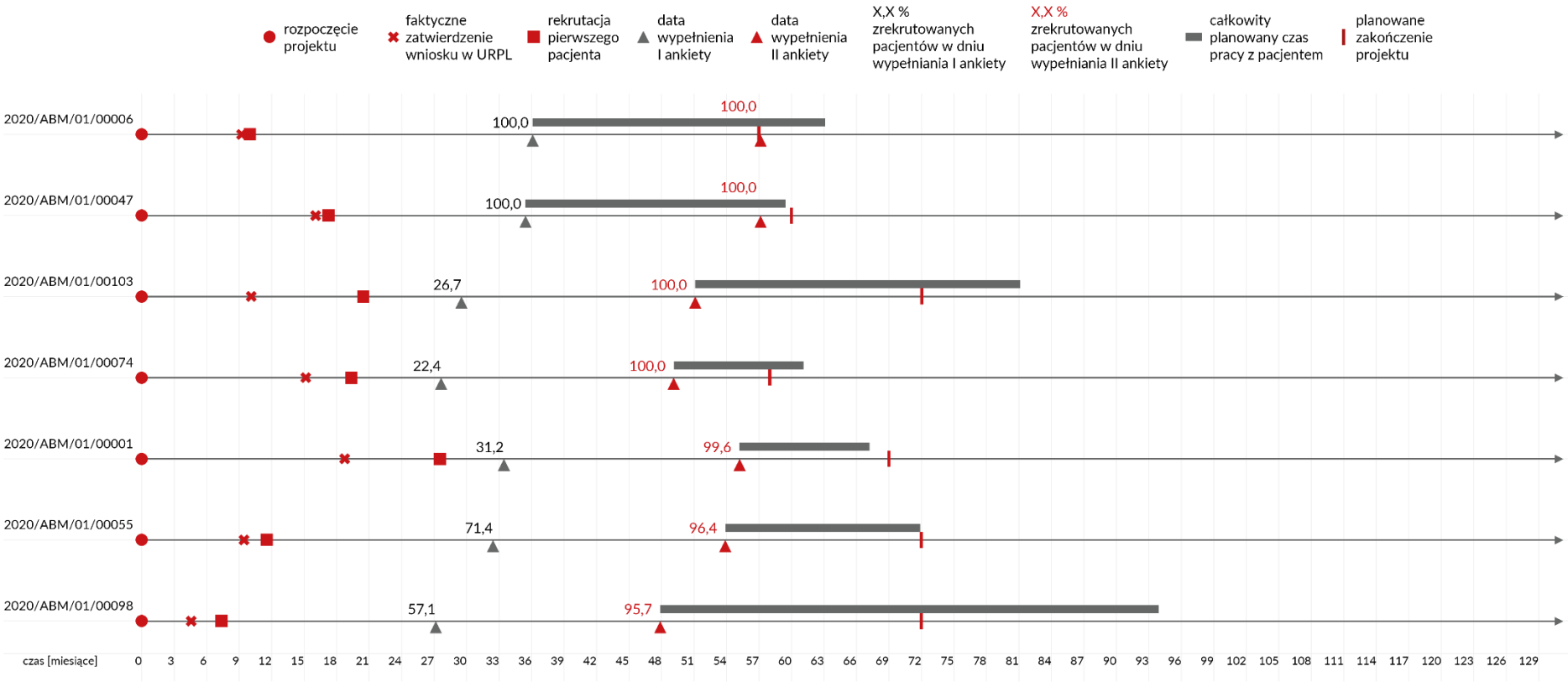
Wykres 17. Główne formy rozpowszechniania informacji o badaniu klinicznym [N=25]



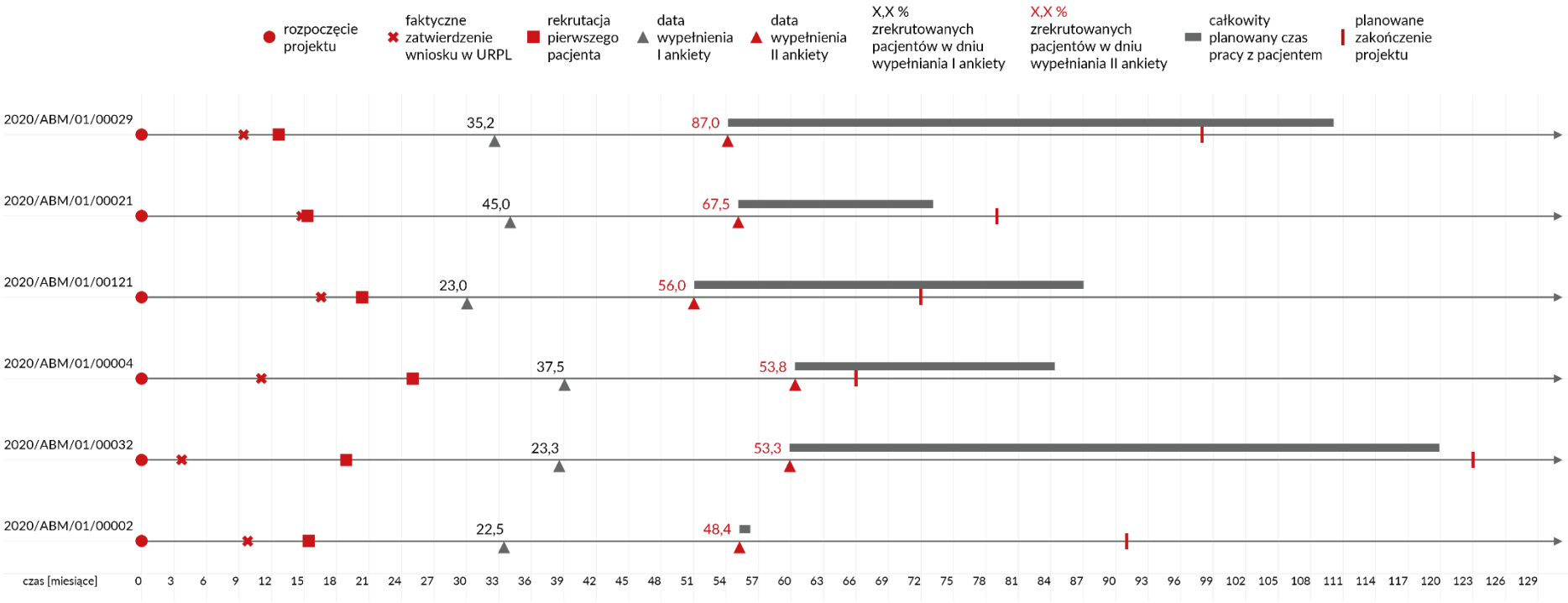
Na wykresach 18-21 przestawione zostało zestawienie pokazujące dynamikę poszczególnych projektów. Na wykresach (na osi czasu) umieszczone zostały informacje o poziomie rekrutacji w trakcie dwóch pomiarów ewaluacyjnych, całkowity planowany czas pracy z pacjentem oraz krytyczne etapy każdego projektu:

- rozpoczęcie projektu,
- otrzymanie zgody URPL na badanie kliniczne,
- rekrutacja pierwszego pacjenta,
- zakończenie projektu (zgodnie z aktualnym wnioskiem o dofinansowanie).

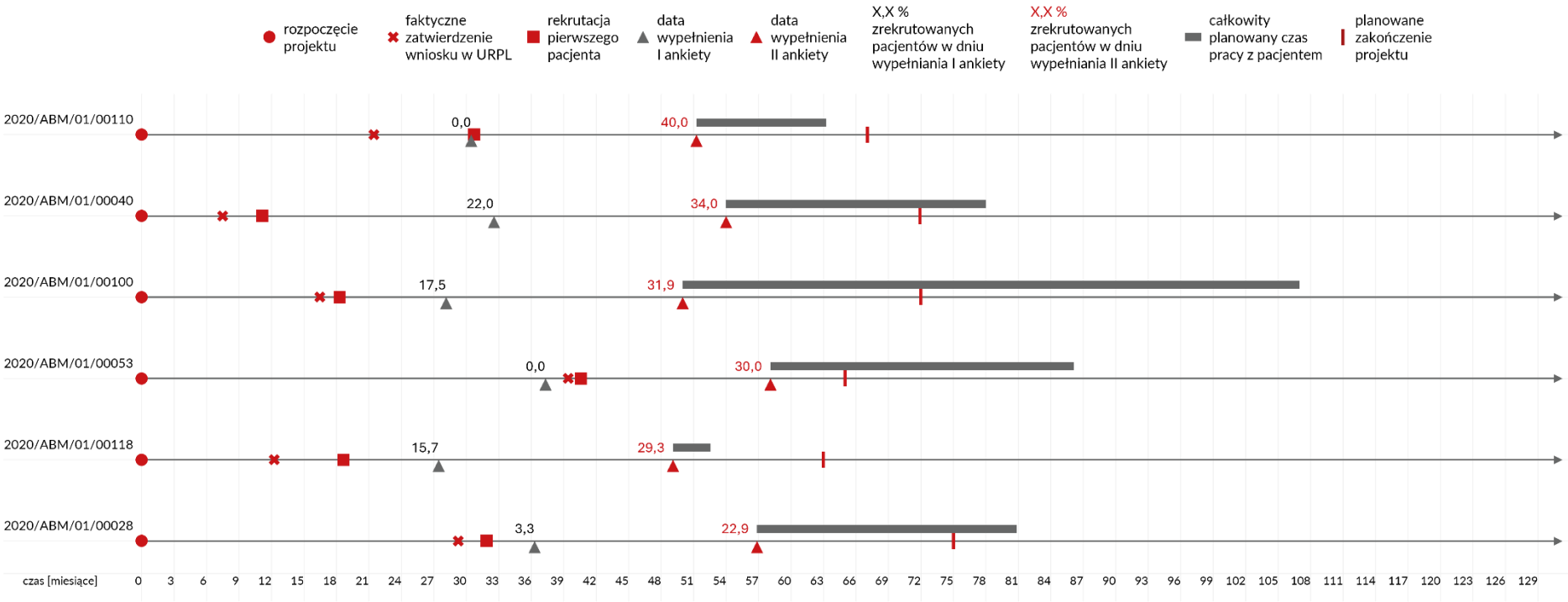
Wykres 18. Dynamika projektów realizowanych w ramach konkursu NBK 2020 [1/4]



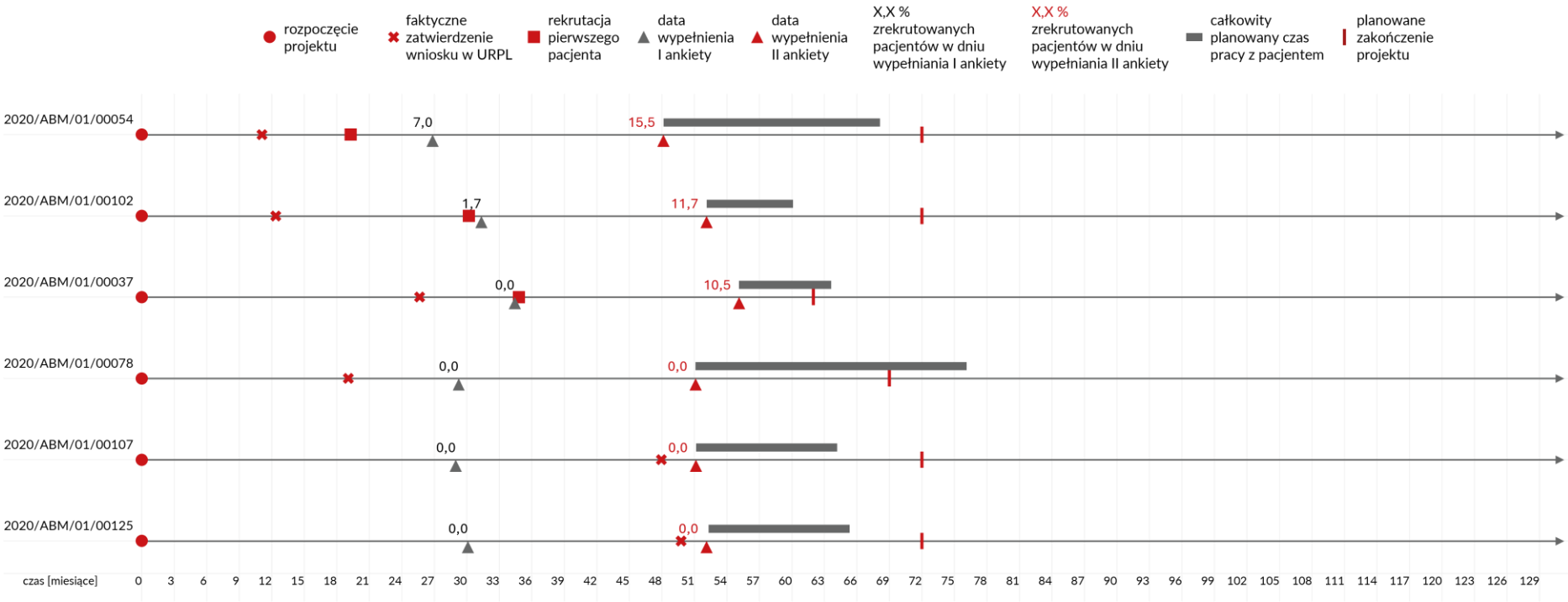
Wykres 19. Dynamika projektów realizowanych w ramach konkursu NBK 2020 [2/4]



Wykres 20. Dynamika projektów realizowanych w ramach konkursu NBK 2020 [3/4]



Wykres 21. Dynamika projektów realizowanych w ramach konkursu NBK 2020 [4/4]



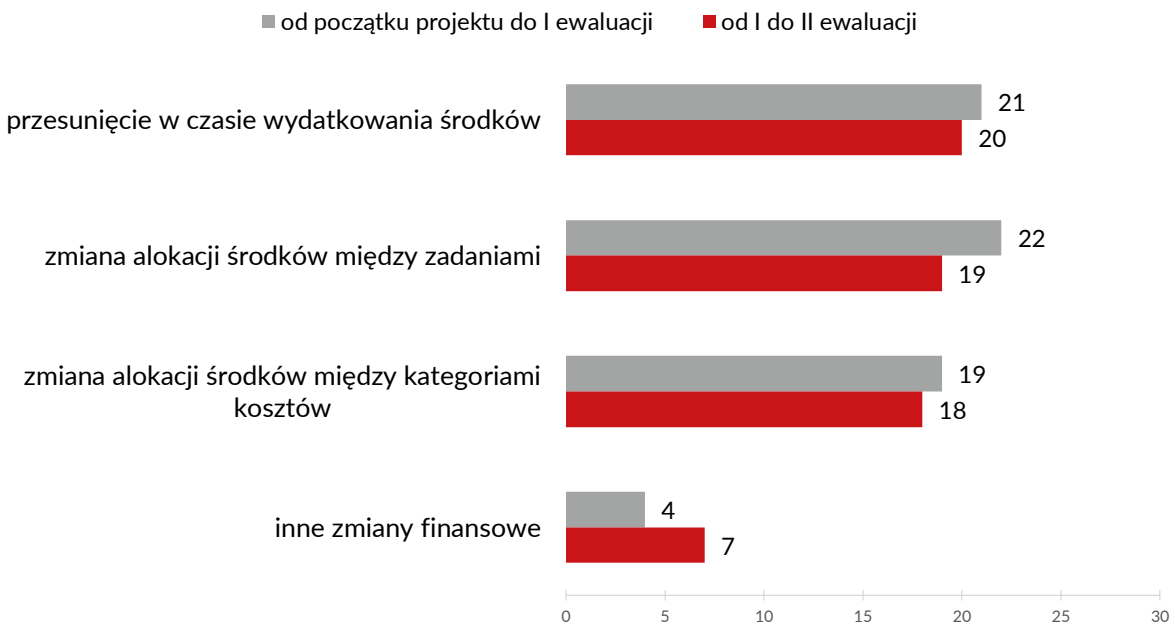
3.10. Finasowanie projektów

Wartość dofinansowania projektów poddanych ewaluacji w dniu ogłoszenia ostatecznej listy rankingowej i podpisywania umów z beneficjentami wynosiła 296 955 474,63 zł. Aktualna wartość dofinansowania projektów poddanych ewaluacji to 296 682 573,06 zł. Różnica ta wynika ze zmiany wysokości dofinansowania dla 2 realizowanych projektów dla których wartość ta została zmniejszona:

- 2020/ABM/01/00001: Zastosowanie empagliflozyny u pacjentów z kardiomiopatią przerostową. – zmniejszenie dofinasowania spowodowane rezygnacją z wykonywania badań PET i analiz ich wyników, zmiana z 11 897 187,50 zł na 11 748 017,10 zł, spadek o 149 170,40 zł,
- 2020/ABM/01/00047: Ocena skuteczności i bezpieczeństwa empagliflozyny w leczeniu neutropenii u pacjentów z glikogenozą 1b - zmniejszenie dofinasowania spowodowane redukcją liczby uczestników badania, zmiana z 5 282 792,09 zł na 5 159 060,92 zł, spadek o 123 731,17 zł.

Zmiany, jakie dokonują beneficjenci zgodnie z umową o dofinansowanie, mogą obejmować zmianę alokacji środków pomiędzy kategoriami oraz przeniesienie przyznanych środków finansowych pomiędzy zadaniami wyszczególnionymi we wniosku o dofinansowanie. Każdy rodzaj wymienionych zmian wymaga poinformowania lub zgody ABM. Zmiany alokacji środków między zadaniami były najczęściej wskazywane na etapie pierwszej ewaluacji. Od początku realizacji projektów do daty pierwszej ewaluacji wskazało je 22 na 25 beneficjentów, a między datą pierwszej a drugiej ewaluacji 19. Przesunięcie w czasie wydatkowania środków wskazało 21 beneficjentów na etapie pierwszej ewaluacji i 20 beneficjentów na etapie drugiej ewaluacji. Zmiana alokacji środków między kategoriami kosztów była wskazywana nieznacznie częściej na etapie pierwszej ewaluacji (odpowiednio 18 projektów i 19 projektów). Struktura zmian finansowych w projektach jest zbliżona na etapie obu omawianych ewaluacji. Szczegółowe dane porównawcze zostały zaprezentowane na wykresie 22.

Wykres 22. Liczba projektów, w których zgłaszane były zmiany finansowe [N=25]



Wnioski o Dofinansowanie projektów zawierają informację o całkowitym budżecie według typów uprawnionych kosztów w podziale na następujące kategorie:

- wynagrodzenie (umowa o pracę)
- wynagrodzenie (umowa zlecenie)
- koszty wynagrodzenia (umowa o dzieło)
- koszty wynagrodzenia (dodatek do wynagrodzenia)
- usługa medyczna
- lek
- koszty ubezpieczenia
- zaangażowanie CRO
- zakup sprzętu medycznego
- wyrób medyczny
- inne.

Na wykresach nr 23-27 zaprezentowane zostały zmiany w wydatkowaniu środków między poziomem finansowania zadeklarowanym w momencie podpisywania umowy, a aktualnym poziomem finansowania (zgodnie z aktualnymi Wnioskami o Dofinansowanie) w podziale na główne kategorie:

- koszty wynagrodzeń (łącznie),
- koszty usług medycznych,
- koszty leku,
- koszty zaangażowania CRO,
- koszty zakupu sprzętu medycznego.

W przypadku wynagrodzeń wzrosły koszty w 11 projektach, a mediana wzrostu wyniosła 15,9%. Największy wzrost procentowy wyniósł 81,9% z pierwotnie zaplanowanej kwoty. Dotyczy on projektu nr 2020/ABM/01/00047. Najmniejszy procentowy wzrost wynagrodzeń odnotowano w projekcie nr 2020/ABM/01/00121 – wyniósł on 5,1%. Spadek kosztów wynagrodzeń odnotowany został w 13 projektach. Mediana tego spadku wyniosła 17,6%. Największy spadek odnotowano w projekcie nr 2020/ABM/01/00110 (47,8%), a najmniejszy w projekcie nr 2020/ABM/01/00040 (1,4%). W jednym projekcie koszty wynagrodzeń pozostały bez zmian (2020/ABM/01/00078).

Koszty usług medycznych wzrosły w 5 projektach, a mediana wzrostu wyniosła 9,7%. Największy wzrost o 47,0% odnotowano w projekcie nr 2020/ABM/01/00004, a najmniejszy w projekcie nr 2020/ABM/01/00100 o 6,0%. W 15 projektach koszty w tej kategorii zmalały, a mediana spadku wyniosła 23,0%. Największy spadek wystąpił w projekcie nr 2020/ABM/01/ 00098 i wyniósł 100,0%, a najmniejszy w projekcie nr 2020/ABM/01/00121 - 0,05%. W 4 projektach koszty usług medycznych pozostały bez zmian, a w 1 projekcie nie zostały uwzględnione.

Zakup leku w 7 projektach nie został zaplanowany w budżecie. Brak zakupu leku w 2 projektach (nr 2020/ABM/01/00121 oraz nr 2020/ABM/01/00125) spowodowany był uwzględnieniem tego kosztu w kategorii „usługa medyczna", co wykluczało konieczność jego odrębnego finansowania. W jednym z projektów (nr 2020/ABM/01/00004) konsorcjant zadeklarował nieodpłatne dostarczenie leku na potrzeby badania. Pozostałe projekty dotyczyły zagadnień niewymagających finansowania leków, w szczególności: procedur medycznych (nr 2020/ABM/01/00028 oraz nr 2020/ABM/01/00078),

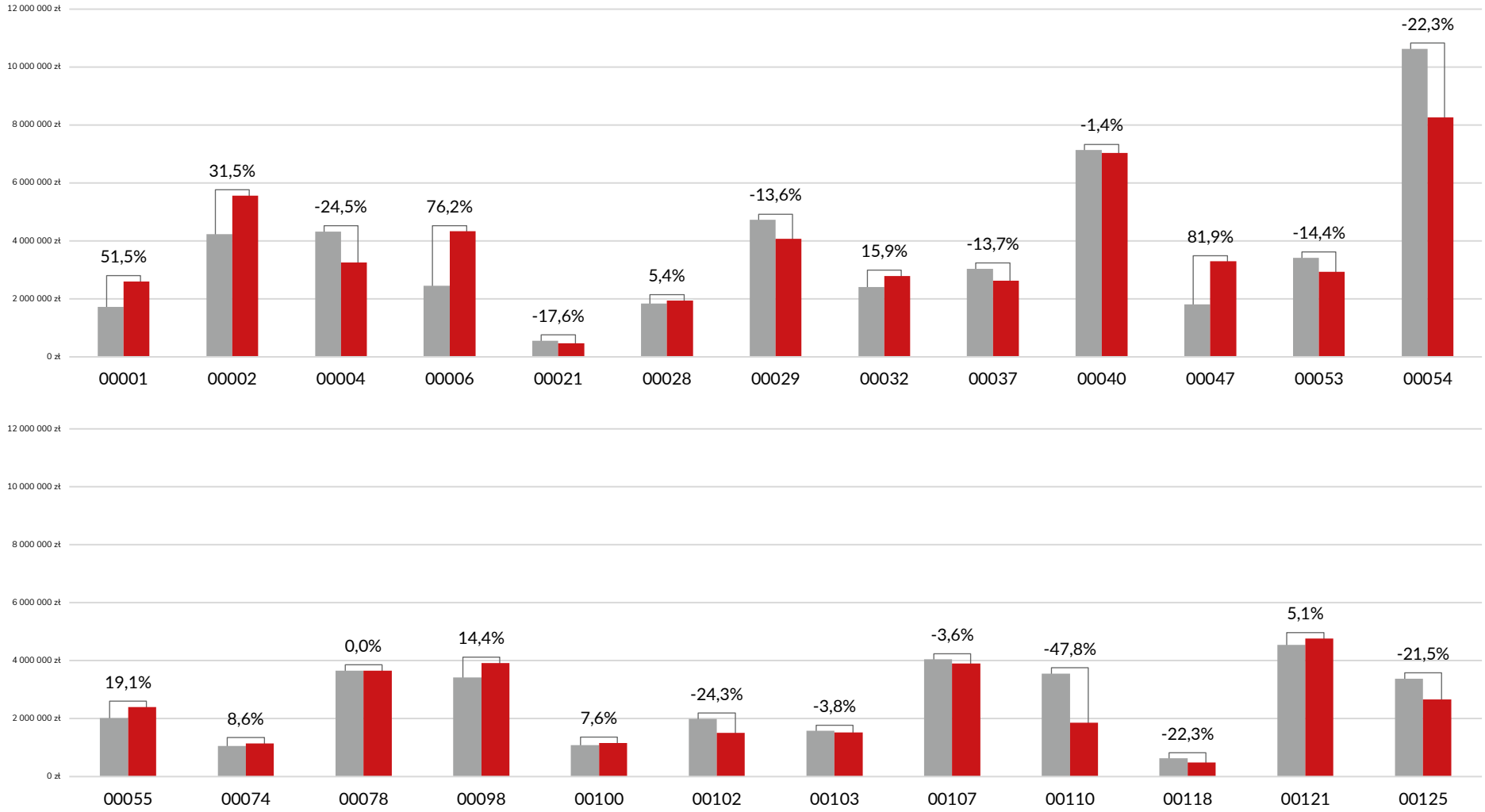
opracowania algorytmu (nr 2020/ABM/01/00029) oraz oceny technologii (nr 2020/ABM/01/00006). Redukcję kosztów związanych z zakupem leku odnotowano w 6 projektach z medianą wynoszącą 28,8%. Największy spadek odnotowano w projekcie nr 2020/ABM/01/00074 i wyniósł 68,3%, a najmniejszy w projekcie nr 2020/ABM/01/00103 – 0,3%. Wzrost kosztów zakupu leku do badania odnotowano w 4 projektach – mediana 173,3%. Największy w projekcie nr 2020/ABM/01/00102 o 636,3%, a najmniejszy w projekcie 2020/ABM/01/00040 o 9,8%. Dodatkowo, w projekcie nr 2020/ABM/01/00053 odnotowany został wzrost aż o 55617,6% wynikający ze zmiany kategorii kosztu. Pierwotnie wydatek został zaplanowany w kategorii wyrób medyczny, a następnie zmieniony na kategorię zakup leku. Wprowadzona zamiana nie wpłynęła jednak na całkowitą kwotę dofinansowania. W 7 projektach koszt zakupu leku pozostał bez zmian.

Koszty zaplanowane na zaangażowanie CRO w 2 projektach pozostały bez zmian, a w 3 projektach nie zostały w ogóle zaplanowane. W przypadku projektów bez udziału CRO, w ramach budżetu utworzono stanowiska wewnętrzne realizujące analogiczny zakres prac. W 13 projektach koszty wzrosły, mediana tego wzrostu wyniosła 16,6%. Największy wzrost odnotowano w projekcie nr 2020/ABM/01/00037 o 79,3%, a najmniejszy w projekcie nr 2020/ABM/01/00028 o 0,1%. Koszty zaangażowania CRO zostały zredukowane w 7 projektach. Największy spadek kosztów zaplanowanych na usługi CRO dotyczy projektu nr 2020/ABM/01/00054 i wynosi 100,0%, a najmniejszy w projekcie nr 220/ABM/01/00107 – 0,6.%.

Koszty zakupu sprzętu medycznego w 13 przypadkach nie zostały w ogóle zaplanowane w budżecie projektu, a w 1 projekcie pozostały bez zmian. Wzrost kosztów odnotowano w 7 projektach – mediana 17,3%. Największy wzrost dotyczy projektu nr 2020/ABM/01/00098 (pierwotnie w tym projekcie nie zarezerwowano środków na zakup sprzętu medycznego), a najmniejszy wyniósł 1,7% w projekcie nr 2020/ABM/01/00102. W 5 projektach koszt zakupu sprzętu medycznego uległ redukcji, a mediana spadku wyniosła 3,4%. Największy spadek - o 100% wystąpił w projekcie nr 2020/ABM/01/00074, a najmniejszy dotyczył projektu nr 2020/ABM/01/00121 – o 0,001%.

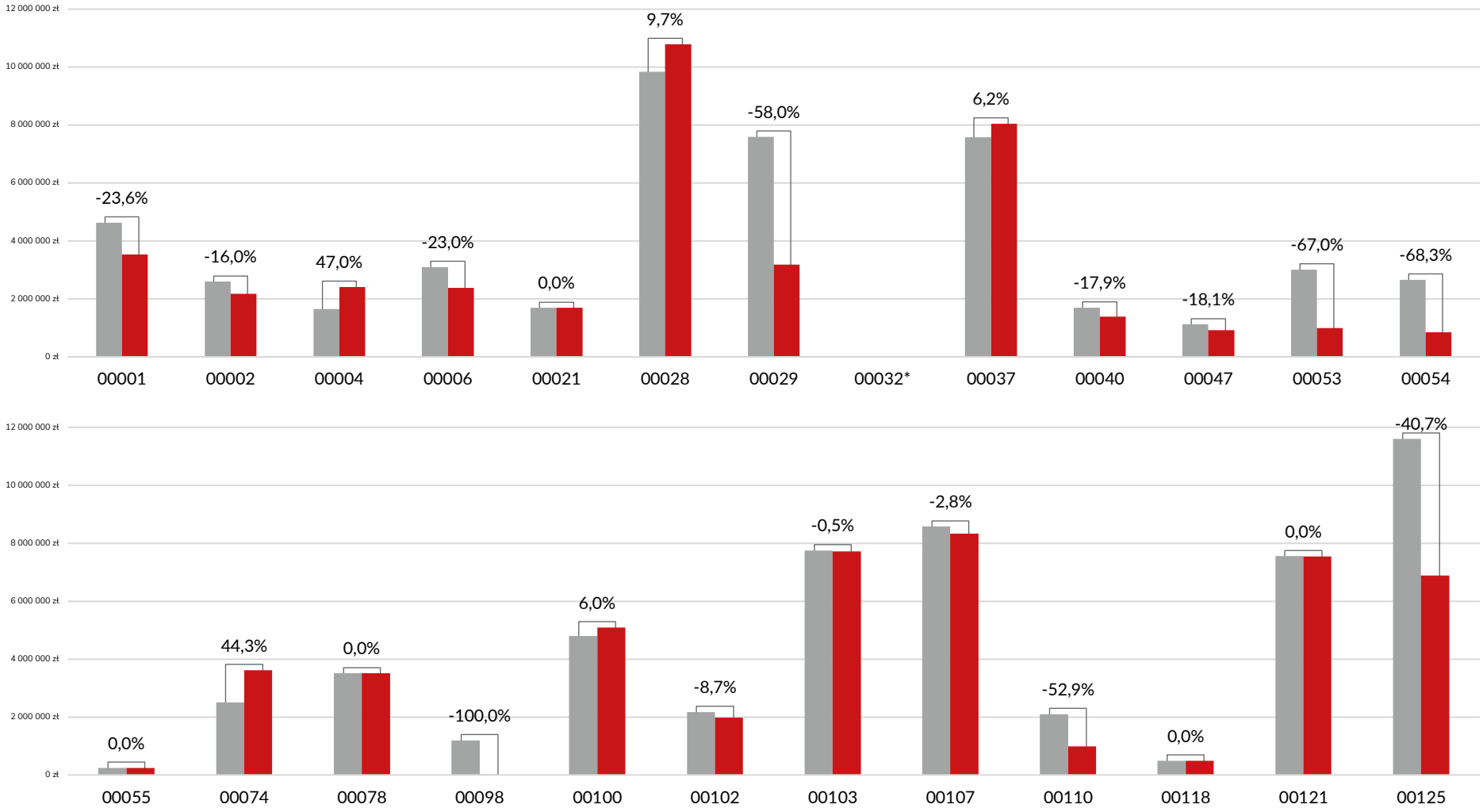
Ostatnią kategorią poddawaną analizie są koszty zakupu wyrobu medycznego, które zostały zaplanowane na etapie składania wniosku o dofinansowanie tylko w 5 projektach. W 4 przypadkach koszty te uległy redukcji, w jednym projekcie pozostały bez zmian. Mediana redukcji wynosi 100,0%. Najmniejsza zmiana nastąpiła w projekcie nr 2020/ABM/01/00100 o 36,4%, natomiast w pozostałych 3 przypadkach spadek wyniósł 100% pierwotnej wartości.

Wykres 23. Zmiany kosztów wynagrodzeń w projektach [N=25][10]



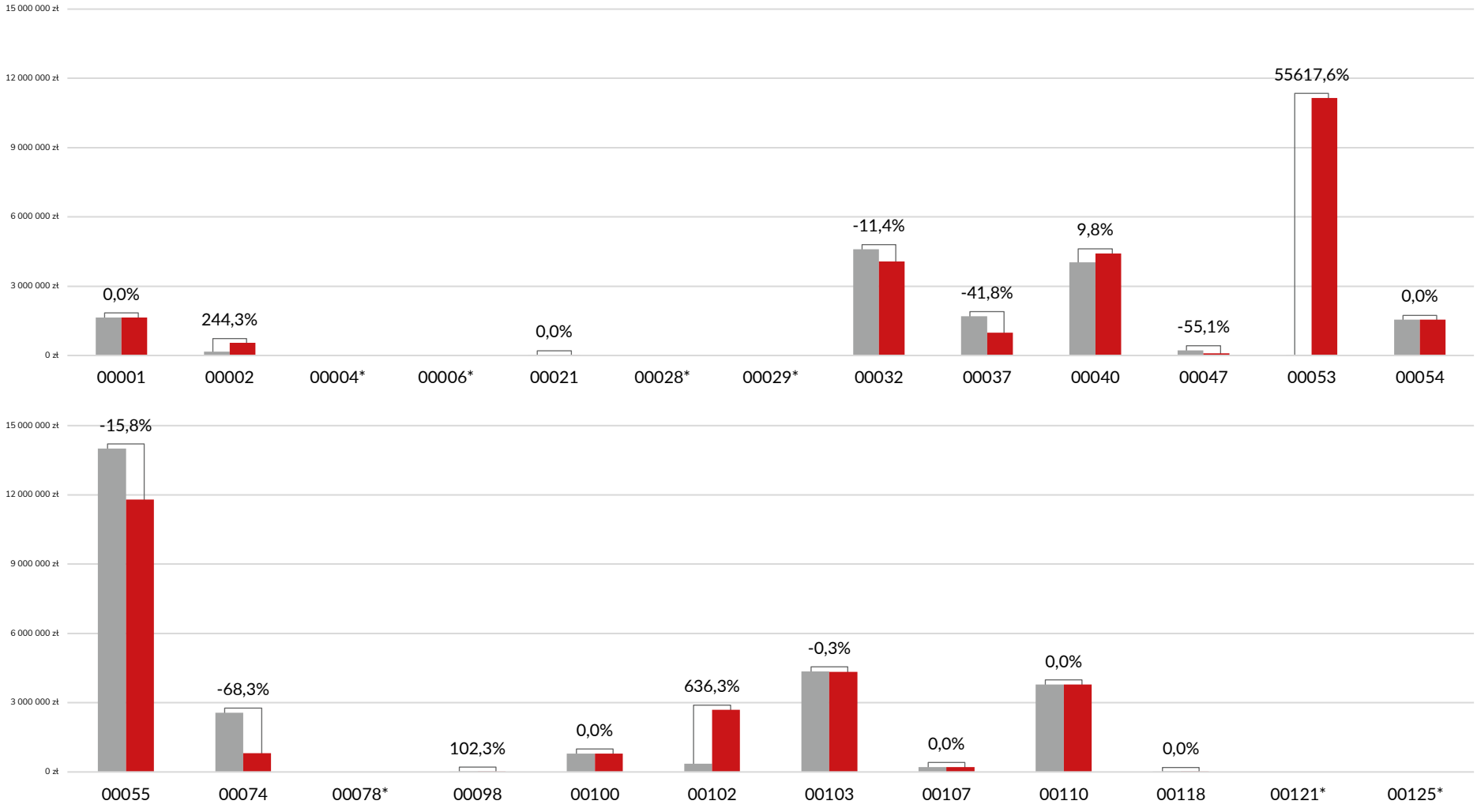
[10] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 24. Zmiany kosztów usług medycznych w projektach [N=25][11]



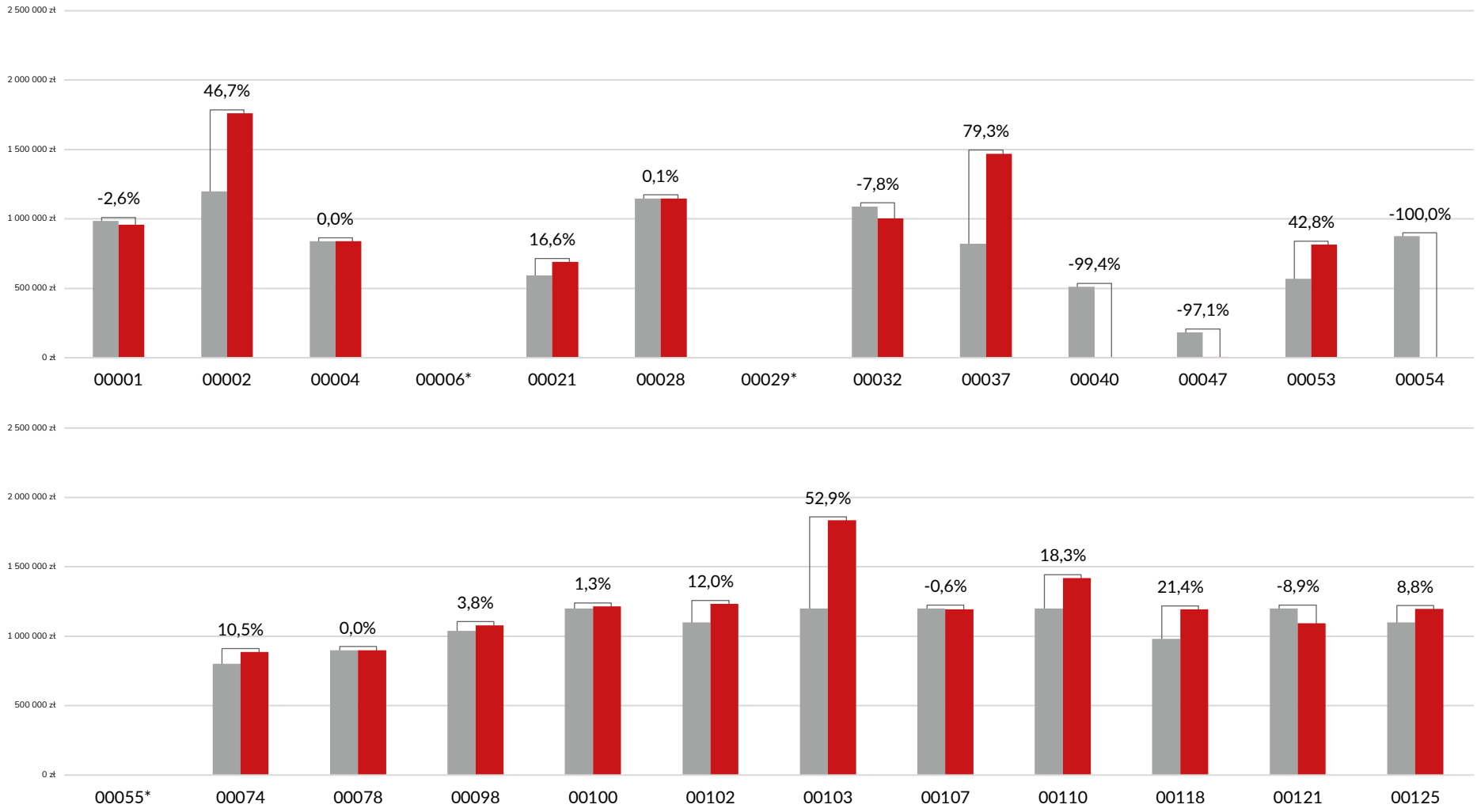
[11] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.
* oznaczono projekty, w których dana kategoria nie była finansowana.

Wykres 25. Zmiany kosztów leku w projektach [N=25][12]



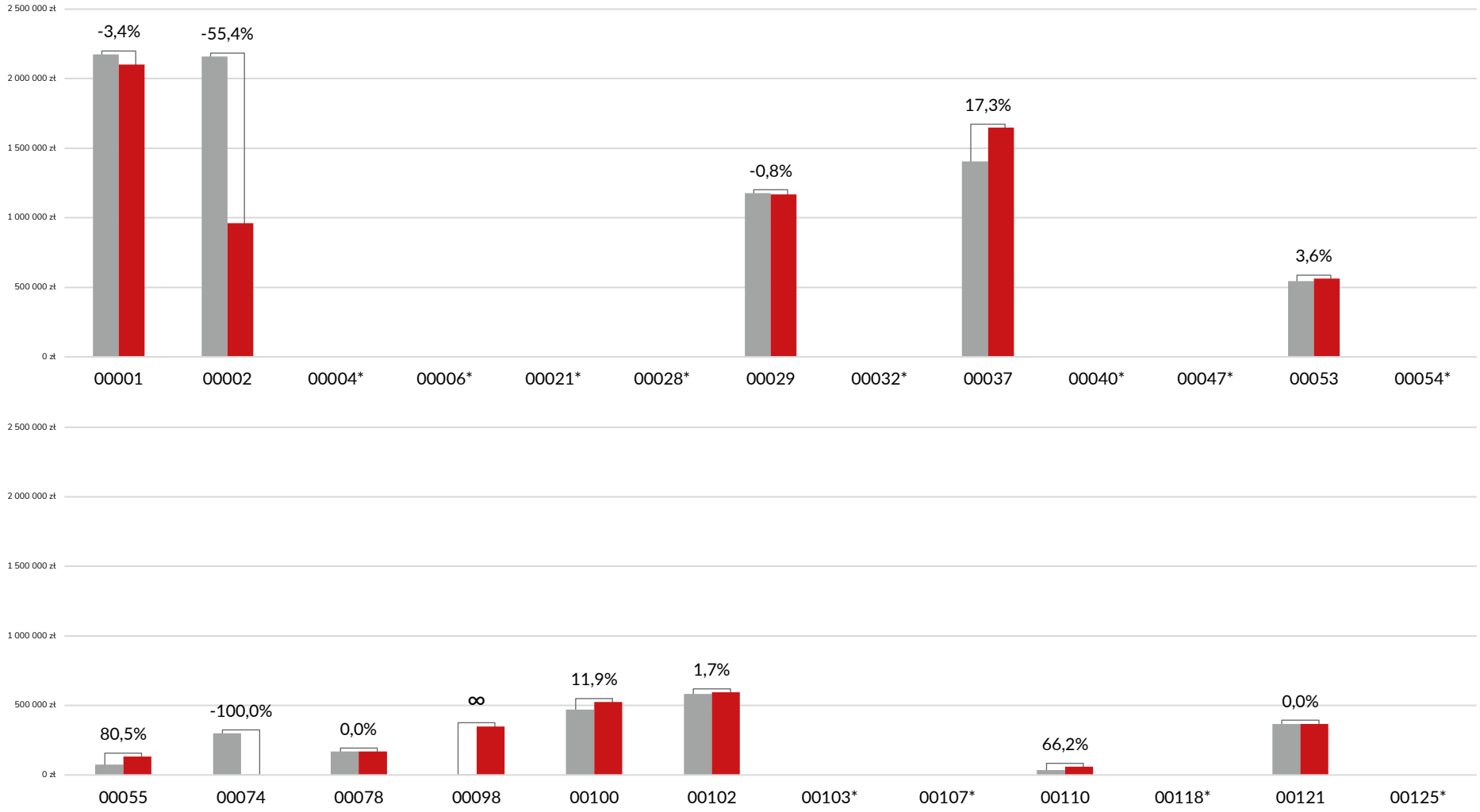
[12] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.
* oznaczono projekty, w których dana kategoria nie była finansowana.

Wykres 26. Zmiany kosztów zaangażowania CRO w projektach [N=25][13]



[13] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.
* oznaczono projekty, w których dana kategoria nie była finansowana.

Wykres 27. Zmiany kosztów zakupu sprzętu medycznego w projektach [N=25][14]

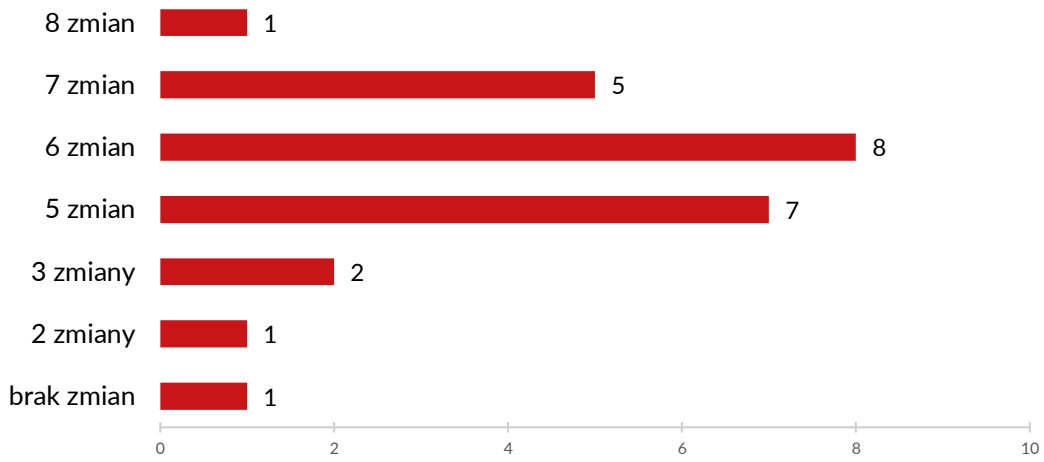


[14] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.
* oznaczono projekty, w których dana kategoria nie była finansowana.

Na wykresach 29 – 35 zaprezentowano zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach. Największy spadek odnotowano w kategorii wyrób medyczny, gdzie wydatki obniżyły się z 11 165 828,00 zł do 632 000,00 zł, co daje spadek o 94% oraz w kategorii ubezpieczenie, gdzie spadek wyniósł 43%. Obniżki wykazano również kategorii wynagrodzeń (spadek o 1%), oraz zakupu sprzętu medycznego (spadek o 9%). Z drugiej strony, w kilku obszarach odnotowano wzrost kosztów. Największy dotyczy kategorii inne, gdzie nastąpił wzrost z 34 425 610,35 zł do 52 322 630,09 zł, czyli o 17 897 019,74 zł (52%). Kolejny znaczący wzrost pojawił się w pozycji lek, gdzie koszty zwiększyły się o 8 913 930,65 zł (22%). Mniejszy, lecz zauważalny wzrost wystąpił również w zakresie zaangażowania CRO, gdzie wartość wzrosła o 6%.

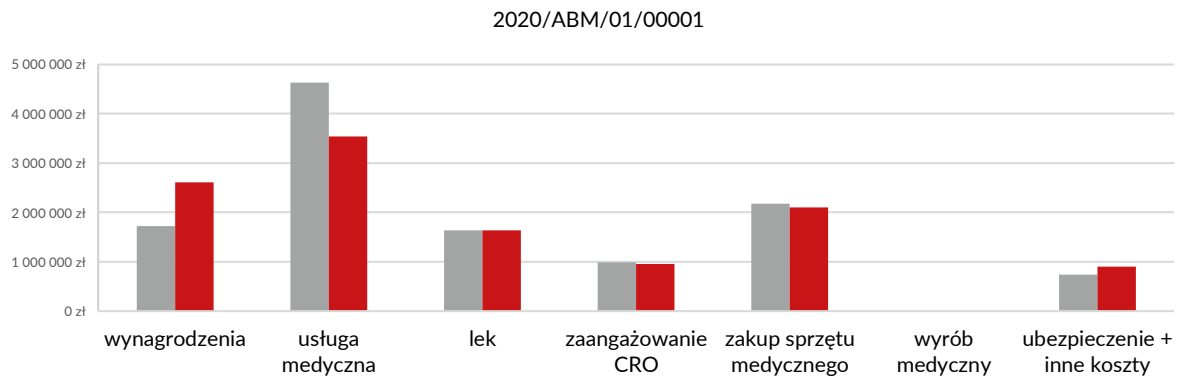
Zmiany alokacji środków pomiędzy kategoriami zostały dokonane w 24 z 25 analizowanych projektów z medianą wynoszącą 6 zmian. Na wykresie 28 zaprezentowana została liczba zmian alokacji środków między głównymi kategoriami: wynagrodzenia (łącznie), usługa medyczna, lek, zaangażowanie CRO, zakup sprzętu medycznego, wyrób medyczny, koszty ubezpieczenia oraz inne koszty.

Wykres 28. Liczba projektów, w których dokonano zmian alokacji środków między kategoriami [N=25]



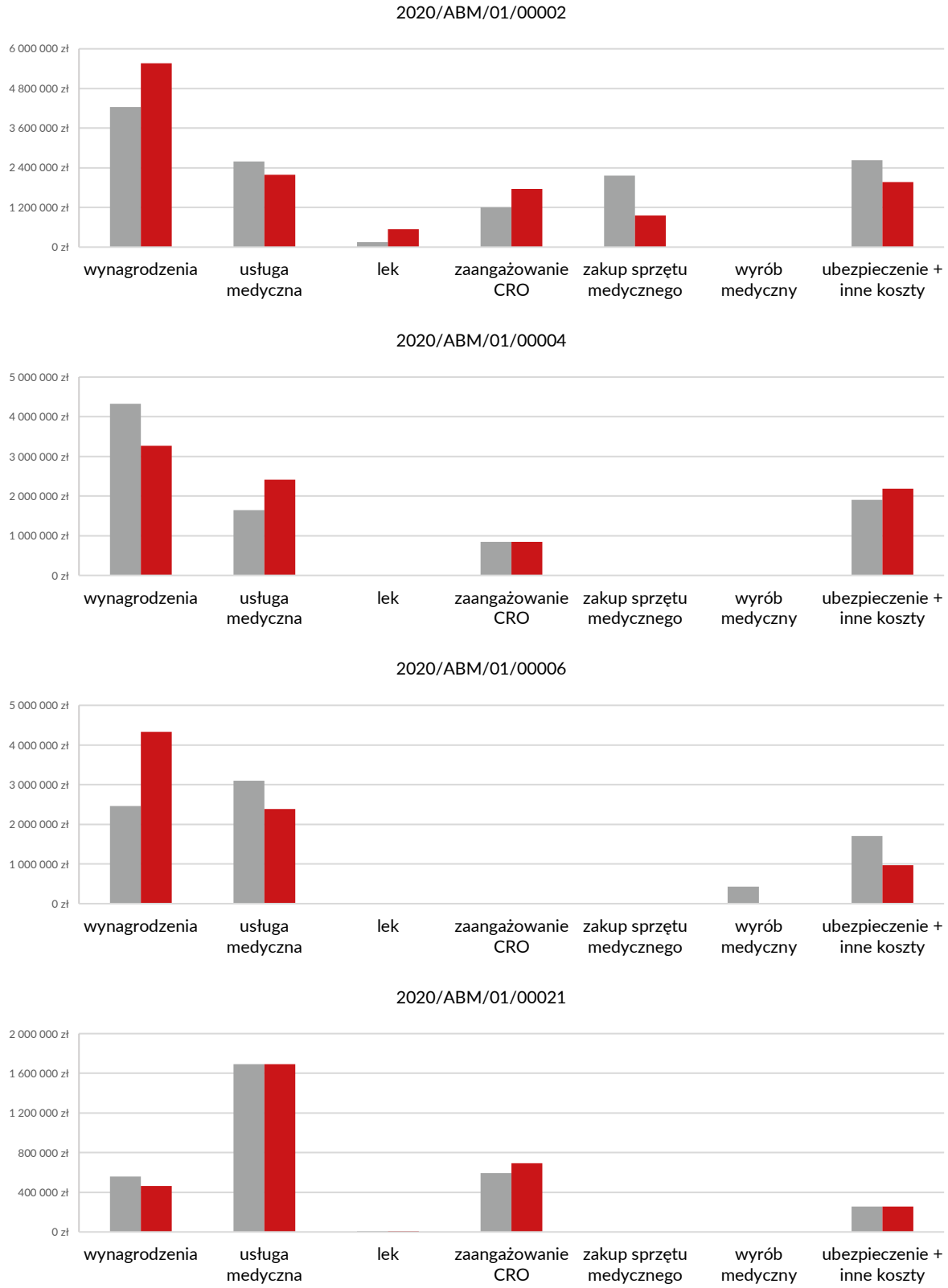
Szczegółowe dane dotyczące zmian kosztów finansowania w poszczególnych projektach zamieszczone zostały na wykresach poniżej.

Wykres 29. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [1/7][15]



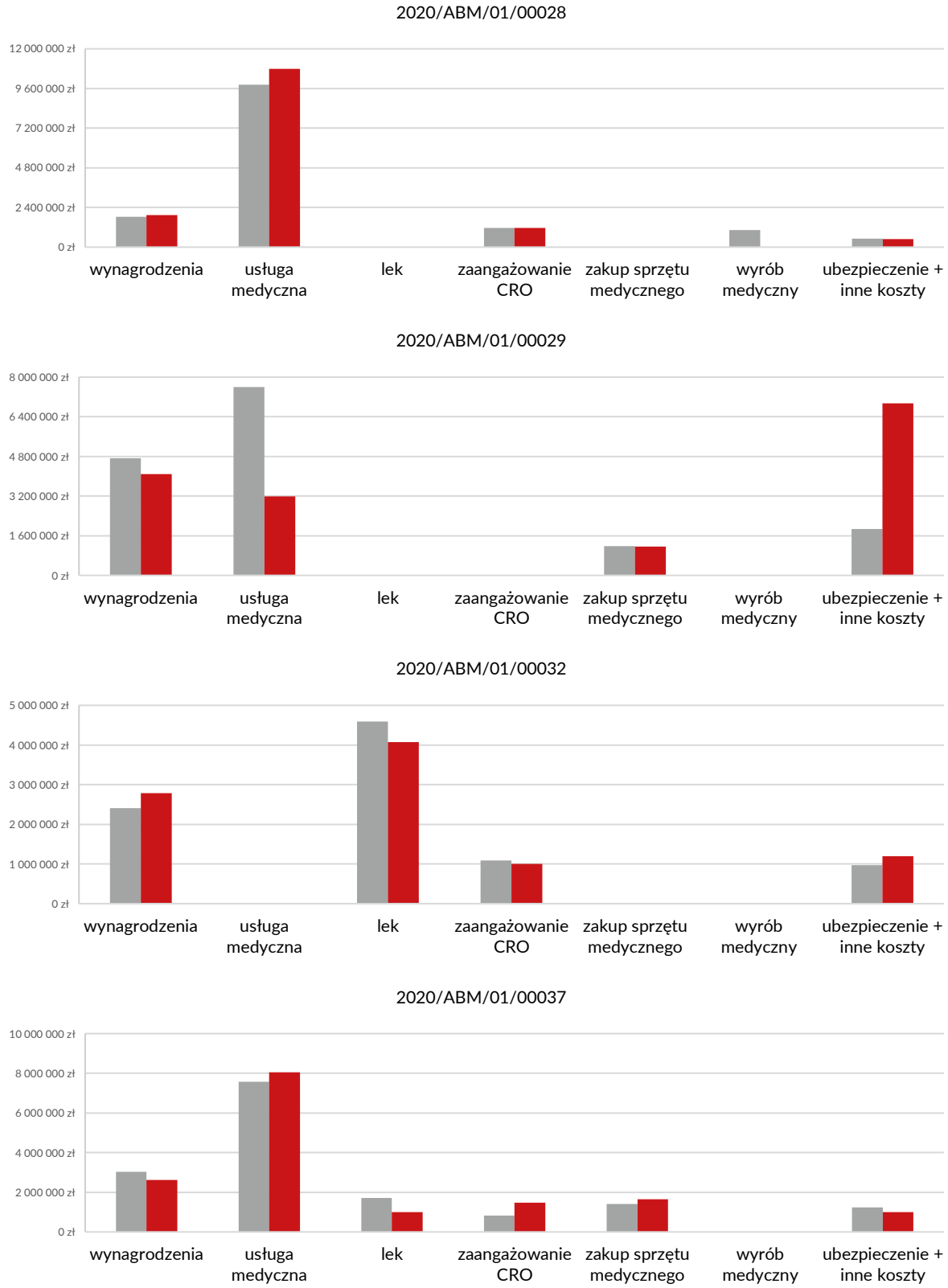
[15] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 30. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [2/7][16]



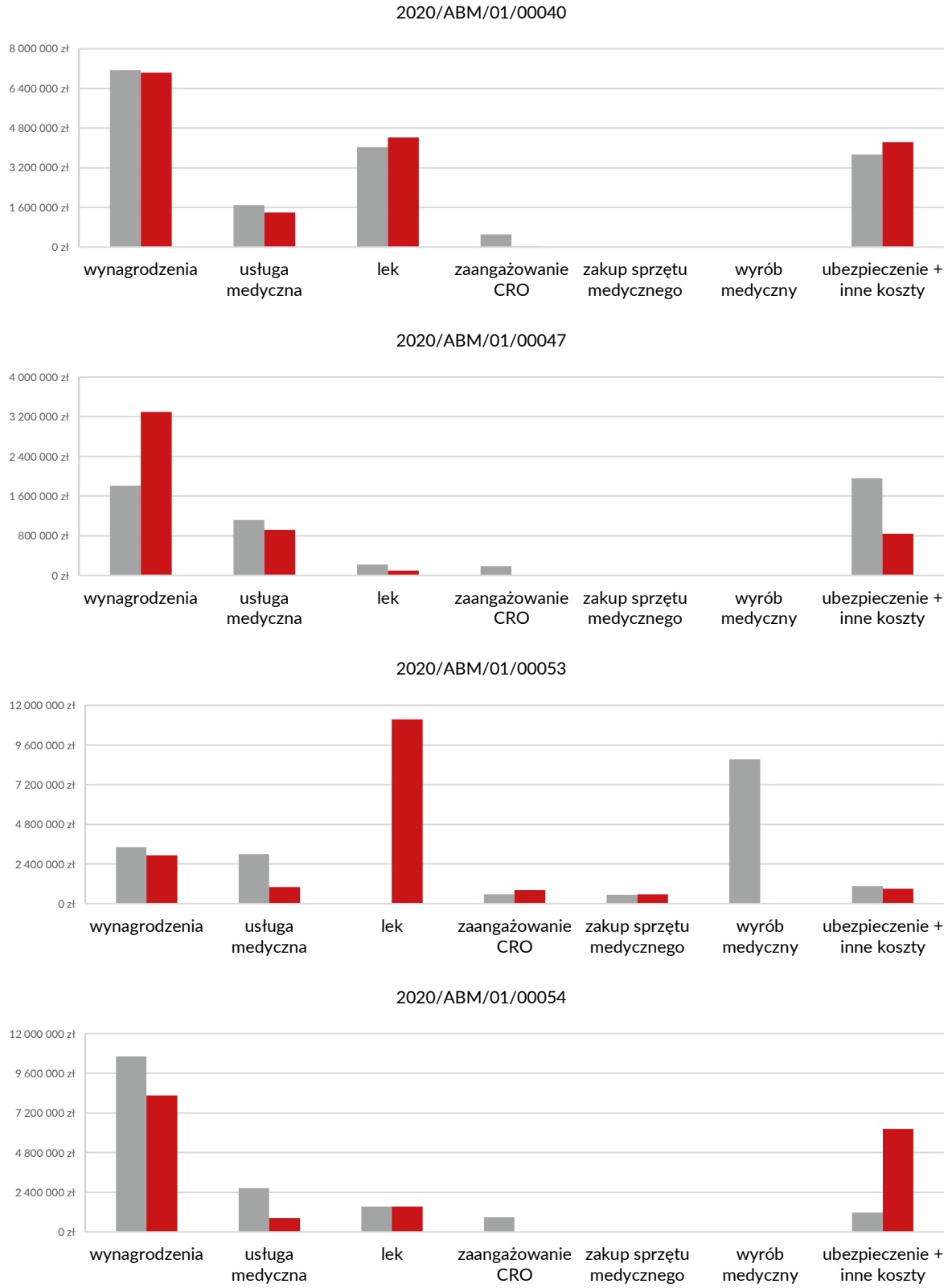
[16] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 31. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [3/7][17]



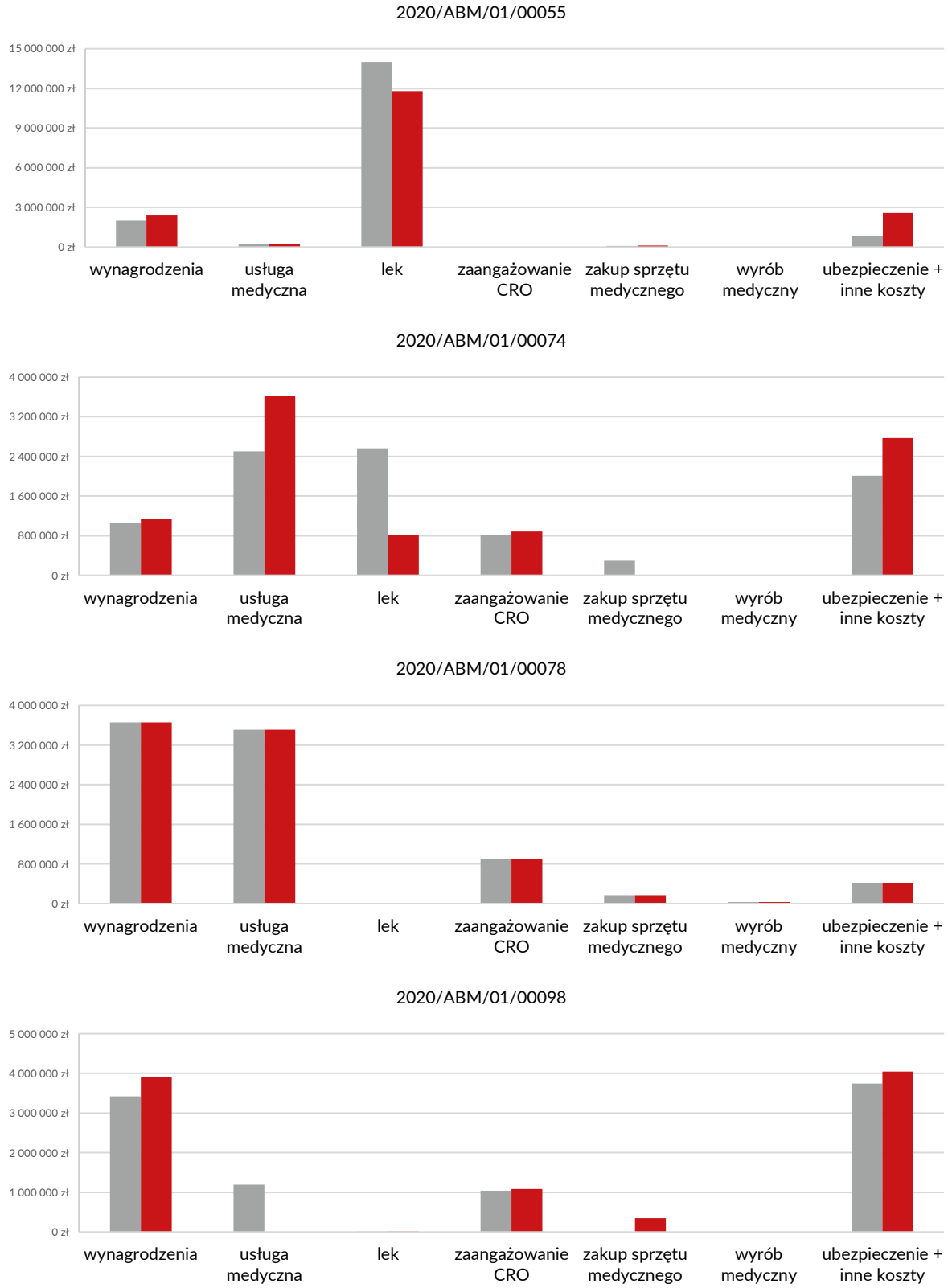
[17] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 32. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [4/7][18]



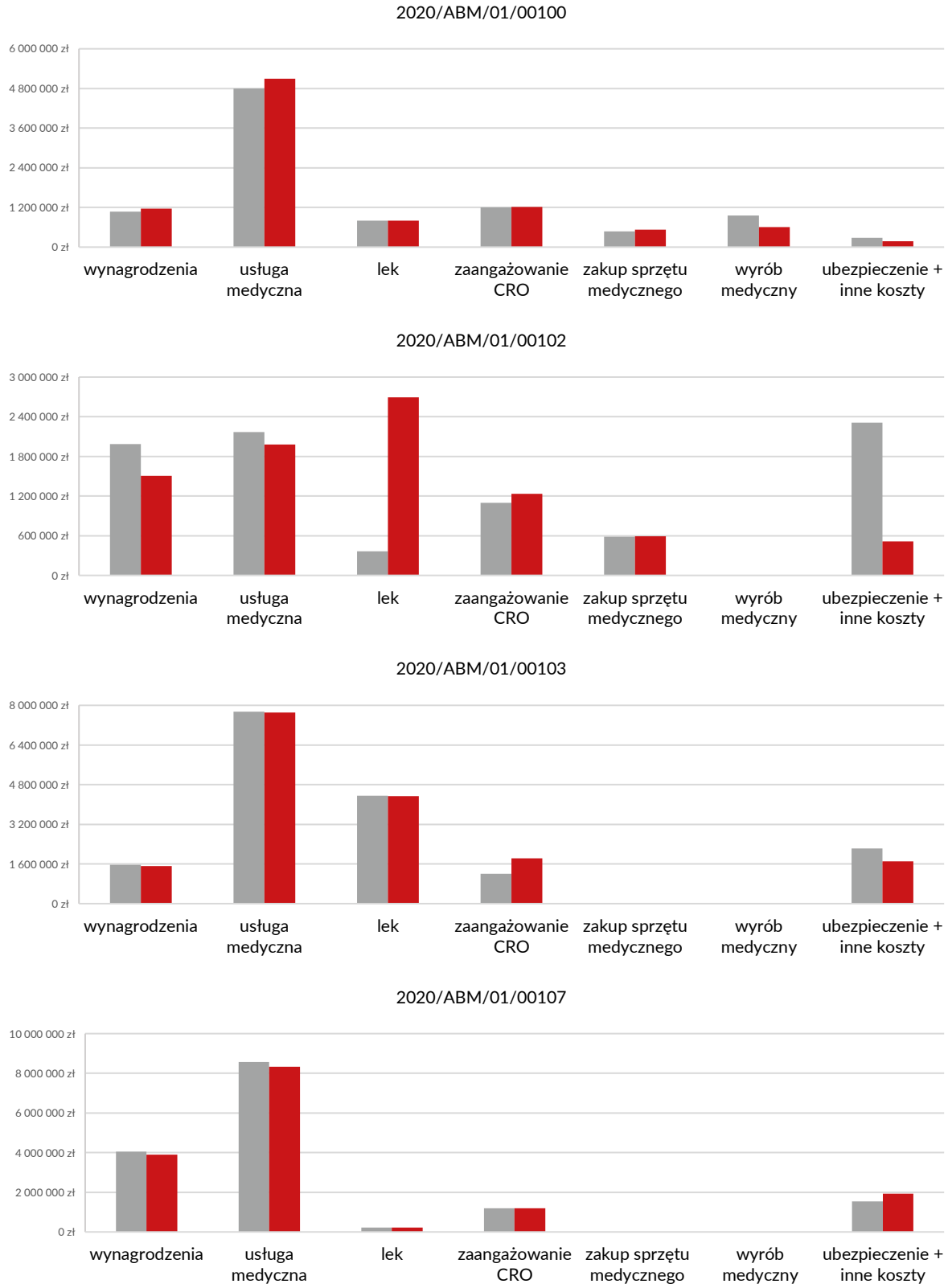
[18] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 33. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [5/7][19]



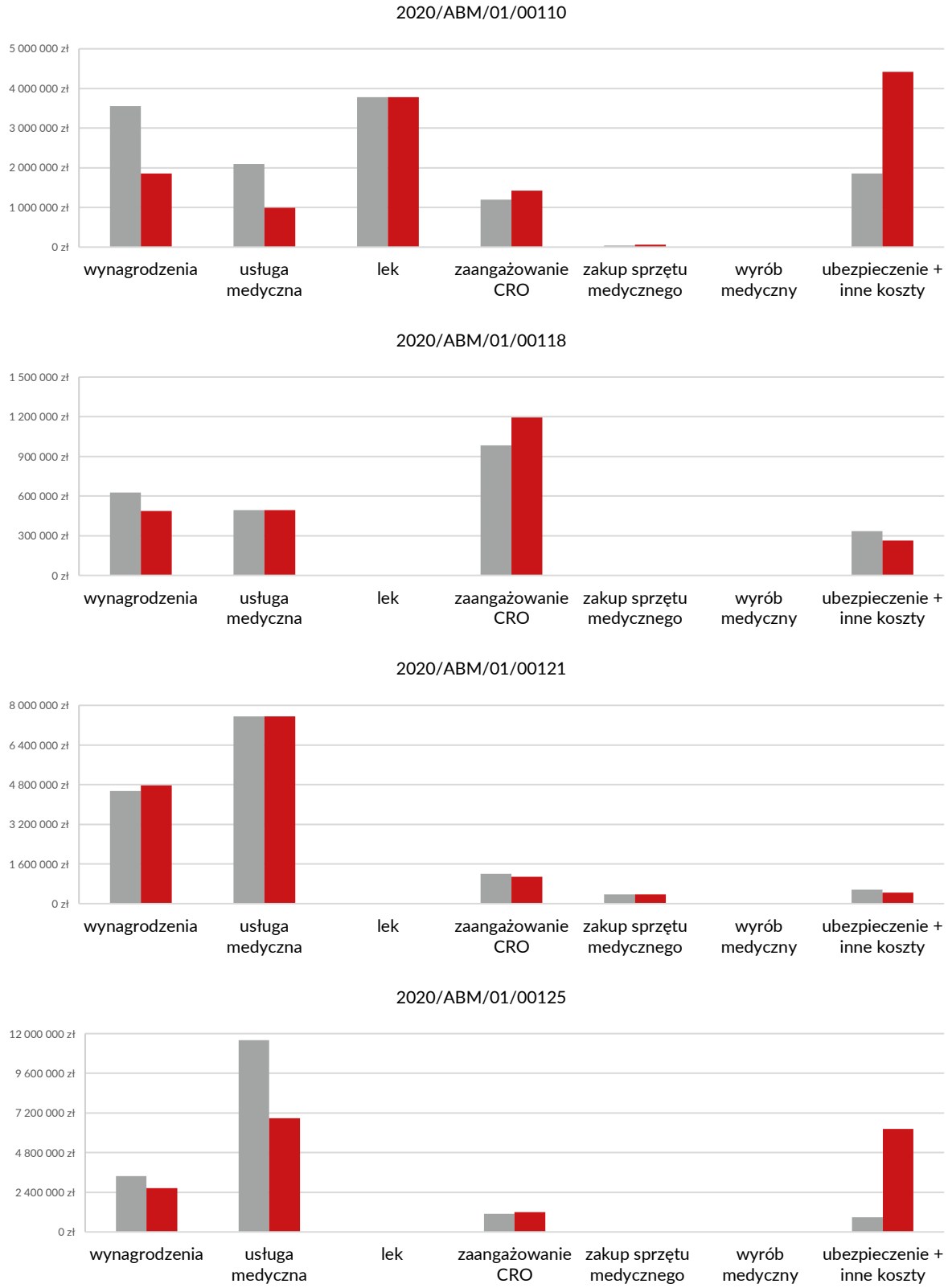
[19] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 34. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [6/7][20]



[20] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 35. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [7/7][21]

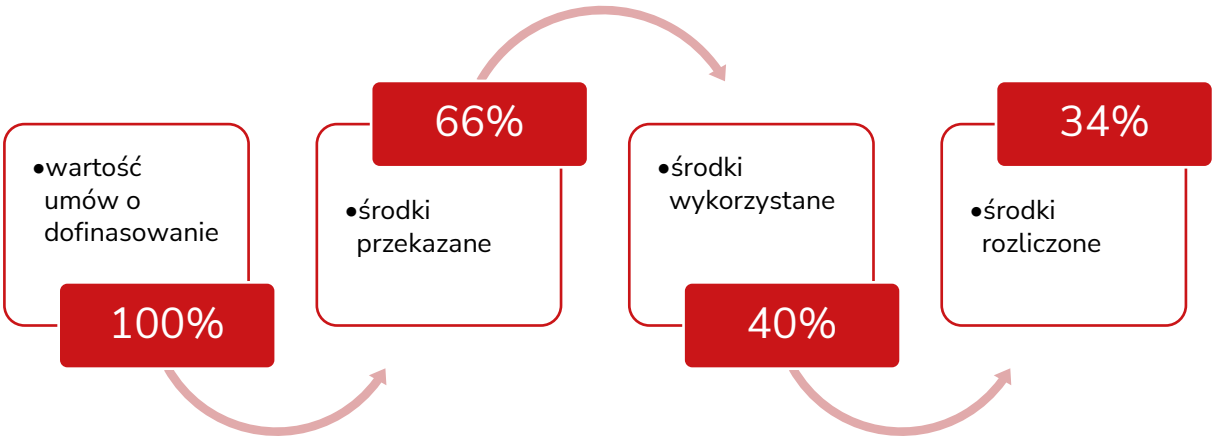


[21] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

3.11. Gospodarowanie finansami projektów

Wszystkie projekty wyłonione w ramach konkursu 2020/ABM/01 finansowane są w 100% z odpisu NFZ. Przyznane fundusze wypłacane są w systemie zaliczkowym zgodnie z harmonogramem płatności przygotowanym przez beneficjenta, będącym załącznikiem do umowy o dofinansowanie oraz po wykorzystaniu min. 60% wcześniej wypłaconej zaliczki. Środki finansowe zostały przekazane do wszystkich beneficjentów. Mediana dotychczasowych wypłat ze strony ABM wynosi 66% ogólnej kwoty finansowania przypadającej na projekt. Mediana wykorzystanych przez beneficjentów środków finansowych z dotychczas otrzymanych to 40%, a mediana środków rozliczonych do dnia realizacji ankiet to 34%. Na wykresie 36 zaprezentowane zostały mediany przepływów środków finansowych w 25 projektach na etapie drugiej ewaluacji.

Wykres 36. Mediana przepływów finansowych w projektach konkursu [N=25]



Największy procent wydatkowanych w ramach przydzielonych transz funduszy to 86%, a najmniejszy 8%. 20 z 25 beneficjentów dokonało przesunięcia w czasie wydatkowania środków.

3.12. Upowszechnianie i wykorzystanie wyników badań

Jednym z kluczowych celów realizacji niekomercyjnych badań klinicznych jest stworzenie nowatorskich metod leczenia lub procedur, które – po naukowym potwierdzeniu ich skuteczności i bezpieczeństwa – mogą doprowadzić do modyfikacji obecnie obowiązujących standardów terapeutycznych. W ramach prowadzonej ewaluacji badacze zostali poproszeni o wskazanie przewidywanej formy wykorzystania wyników badania klinicznego, przy czym mogli oni wskazać więcej niż jedną. W opinii badaczy:

- 23 (92%) realizowanych projektów przyczyni się do poszerzenia dotychczasowej wiedzy medycznej,
- 20 (80%) realizowanych projektów pozwoli na wdrożenie nowej opcji terapeutycznej,
- 20 (80%) realizowanych projektów umożliwi aktualizację standardów postępowań klinicznych.

Do czasu przeprowadzenia II ewaluacji badacze zgłosili 58 doniesień w ramach konferencji polskich i 30 w ramach konferencji międzynarodowych. Ukazało się 20 publikacji naukowych w czasopismach o zasięgu międzynarodowym, a 15 jest przygotowanych i oczekuje na publikację. Sumaryczny współczynnik Impact Factor (IF) opublikowanych prac wynosi 81,5. Publikacja o najwyższym współczynniku IF, który wyniósł 7,6 została przygotowana w ramach projektu 2020/ABM/01/00047[22]. Cztery publikacje ukazały się w czasopismach bez wskaźnika bibliometrycznego IF.

3.13. Prawdopodobieństwo zakończenia projektów w terminie

Główni badacze zostali zapytani o prawdopodobieństwo ukończenia projektu w założonym we wniosku o dofinansowanie (aktualnym) terminie. Mediana odpowiedzi badaczy na to pytanie wyniosła 75%. Prawdopodobieństwo dotrzymania terminu zakończenia projektów zostało określone:

- na 100% w 8 projektach,
- na 90% w 2 projektach,
- między 80% a 85% w 2 projektach,
- na 75% w 1 projekcie,
- między 50% a 55% w 6 projektach,
- między 10% a 30% w 3 projektach,
- na 0% w 3 projektach.

Beneficjenci zostali również poproszeni o określenie minimalnego czasu o jaki powinien zostać wydłużony projekt, aby udało się go ukończyć:

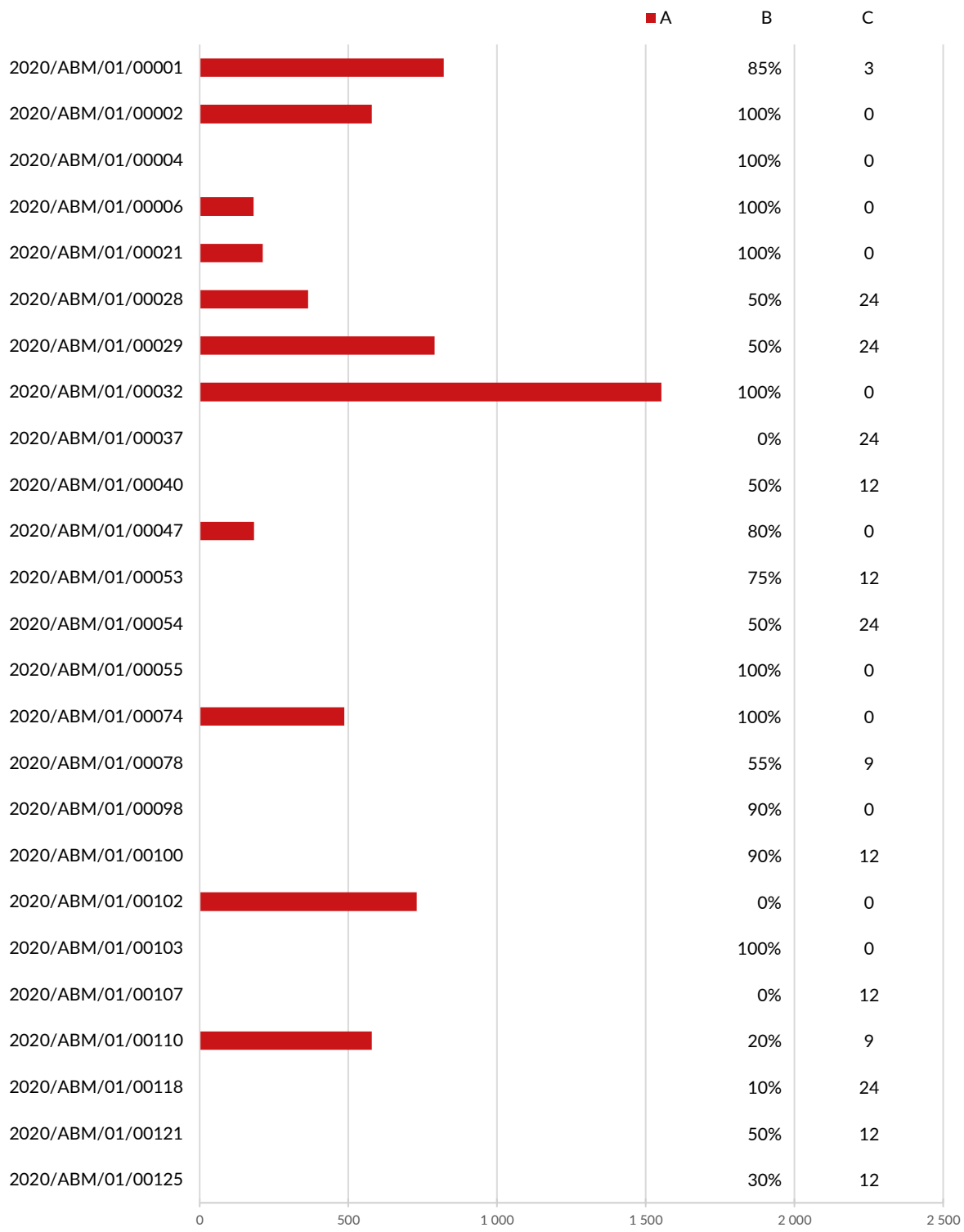
- 11 badaczy wskazało, że nie widzi potrzeby wydłużania projektu,
- 3 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu od 3 do 9 miesięcy,
- 6 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu o 12 miesięcy,
- 5 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu o 24 miesiące.

Powyższe zestawienia dowodzą, że ponad połowa beneficjentów wątpi w możliwość zakończenia badania w aktualnym, zaplanowanym terminie.

Na wykresie 37 zaprezentowane zostały informacje o dotychczasowym wydłużeniu czasu realizacji projektów, prawdopodobieństwie ukończenia ich w terminie oraz minimalnego czasu, o jaki powinien zostać wydłużony każdy z projektów, aby udało się je w całości ukończyć.

[22] Neutrophil functions in patients with neutropenia due to glycogen storage disease type 1b treated with empagliflozin. Blood Adv. 2024 Jun 11;8(11):2790-2802. doi: 10.1182/bloodadvances.2023012403

Wykres 37. Prawdopodobieństwo zakończenia projektów w terminie [N=25][23][24]



[23]A – dotychczas zaakceptowane wydłużenie czasu realizacji projektu [dni kalendarzowe]
B – prawdopodobieństwa ukończenia projektu terminie
C – o ile miesięcy minimum powinien być wydłużony projekt, aby udało się go w całości ukończyć

[24] Zgodnie z deklaracją Beneficjenta projekt 2020/ABM/01/00102 jest niemożliwy do ukończenia ze względu na problemy związane z zapewnieniem produktu badanego. Przedłużanie terminu realizacji projektu nie spowoduje rozwiązania problemu.

3.14. Współpraca z ABM

Zgodnie z zapisami umowy o dofinansowanie, każdy realizowany projekt podlega nadzorowi ze strony Agencji. W Agencji Badań Medycznych przyjęto dobrą praktykę bieżącego monitorowania projektów przez dedykowanych pracowników Działu Monitorowania. Każdemu projektowi, który uzyskał finansowanie, przydzielany jest Opiekun reprezentujący Agencję. Do jego głównych zadań należy udzielanie wsparcia i informacji, kontrola prawidłowego wydatkowania środków oraz utrzymywanie stałej komunikacji pomiędzy przedstawicielami sponsora, a Agencją. Po stronie Sponsora za bieżącą współpracę z ABM odpowiadają przede wszystkim koordynatorzy projektów – zatrudnieni bezpośrednio przez Sponsora lub działające w jego imieniu CRO – natomiast pośrednio także główni badacze. Beneficjent zobowiązany jest do przekazywania Agencji dokumentacji umożliwiającej prowadzenie monitoringu i sprawozdawczości oraz weryfikacji zgodności realizacji projektu z zapisami umowy. W tym celu składane są raporty merytoryczne i finansowe, zgodnie z harmonogramem płatności. Do zadań ABM należy analiza przedłożonych raportów oraz zatwierdzanie ewentualnych zmian – zarówno w zakresie finansów, jak i treści merytorycznej projektu.

W ramach przeprowadzonej ewaluacji oceniono jakość współpracy pomiędzy Sponsorami, a opiekunami projektów wyznaczonymi przez ABM. Zebrane dane pokazują, że współpraca z przedstawicielami Agencji oceniana jest pozytywnie – aż 80% beneficjentów wskazało na bardzo wysoką lub wysoką jakość tej współpracy, podczas gdy jedynie trzech respondentów (12%) oceniło ją jako przeciętną. Wyniki te świadczą o utrzymywanym przez ABM wysokim standardzie relacji z beneficjentami, co stanowi istotne wsparcie dla sprawnej i efektywnej realizacji projektów.

4. Podsumowanie

Głównym celem ewaluacji formatywnej jest pozyskanie wiedzy na temat przebiegu realizowanych działań – w tym przypadku chodzi o projekty niekomercyjnych badań klinicznych – oraz identyfikacja kluczowych trudności, z jakimi mierzą się beneficjenci.

W ramach niniejszej ewaluacji ocenie poddano 25 projektów w tym:

- 17 dotyczących produktu leczniczego,
- 5 projektów ATMP (2020/ABM/01/00053; 2020/ABM/01/00078; 2020/ABM/01/00107; 2020/ABM/01/00110; 2020/ABM/01/00125),
- 2 projekty skupione na wyrobach medycznych (2020/ABM/01/00028; 2020/ABM/01/00121),
- 1 projekt oceniający procedurę diagnostyczną (2020/ABM/01/00074).

Na podstawie analizy wykresów obrazujących dynamikę realizacji projektów w ramach konkursu NBK 2020, można wskazać istotne różnice pomiędzy projektami wykorzystującymi ATMP, a projektami z użyciem produktu leczniczego. Wyróżniają się one przede wszystkim dłuższym czasem oczekiwania na uzyskanie zgody URPL na realizację badania oraz niższym stopniem rekrutacji pacjentów. Do tej pory w 4 na 5 projektów z ATMP nie zrekrutowano jeszcze ani jednego pacjenta. Podobne zależności można również, zaobserwować w projektach skupionych na wyrobach medycznych. Natomiast przebieg realizacji projektu oceniającego procedurę diagnostyczną nie odbiega znacząco od projektów skupionych na produktach leczniczych.

Analiza zgromadzonych w ramach ewaluacji danych ma również na celu wskazanie możliwych sposobów rozwiązania zidentyfikowanych problemów. Proponowane działania mogą być wdrożone zarówno w projektach będących jeszcze w toku, aby zwiększyć szanse na ich pomyślne zakończenie, jak i w projektach realizowanych w ramach kolejnych edycji konkursu.

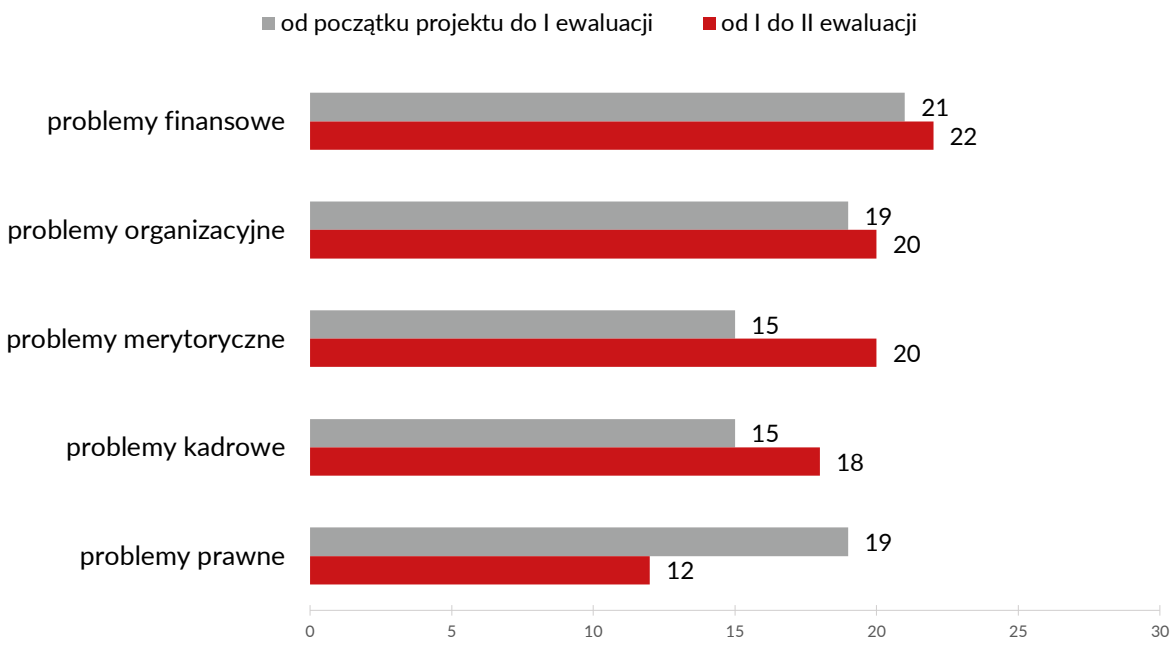
4.1. Stwierdzone problemy

Kategorie problemów zgłaszanych przez beneficjentów w okresach od początku realizacji projektu do pierwszej ewaluacji oraz od pierwszej do drugiej ewaluacji zostały pogrupowane w pięciu głównych obszarach:

- problemy kadrowe,
- problemy merytoryczne,
- problemy prawne,
- problemy finansowe,
- problemy organizacyjne.

Struktura problemów zgłaszanych na etapie obu analizowanych ewaluacji jest dość zbliżona. Na etapie pierwszej ewaluacji częściej zgłaszane były problemy finansowe, prawne i organizacyjne, a na etapie drugiej ewaluacji częściej zgłaszane były problemy finansowe, organizacyjne i merytoryczne. Na przestrzeni całej realizacji projektów najczęściej zgłaszane są problemy finansowe i organizacyjne. Dane prezentujące główne kategorie zgłaszanych problemów zostały przedstawione na wykresie 38.

Wykres 38. Częstość występowania istotnych problemów w poszczególnych obszarach [N=25]

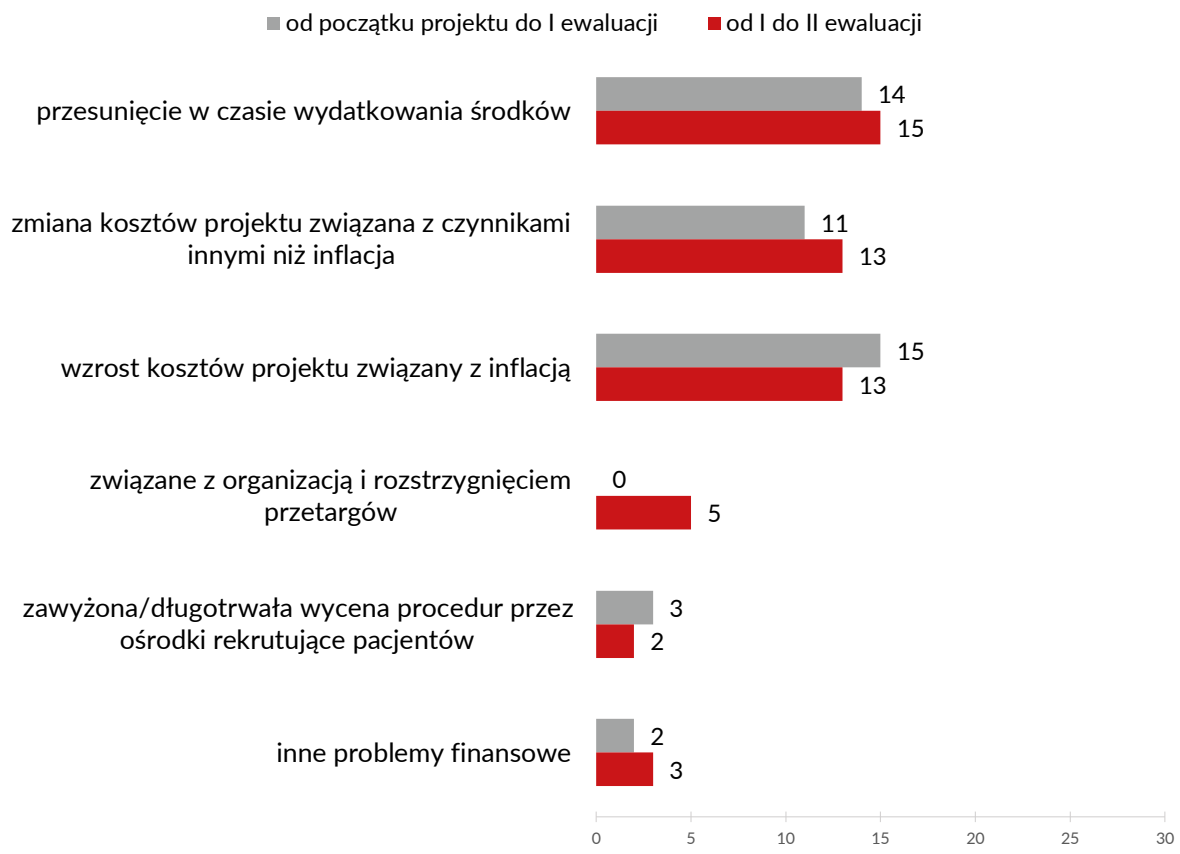


Wśród problemów finansowych na etapie drugiej ewaluacji najczęściej zgłaszane było przesunięcie w czasie wydatkowania środków, wzrost kosztów związany z inflacją oraz zmiana kosztów projektu związana z czynnikami innymi niż inflacja. W pierwszej ewaluacji badacze częściej wskazywali przede wszystkim na wzrost kosztów związany z inflacją.

Na opóźnienia w realizacji harmonogramu badania przełożyły się bezpośrednio przede wszystkim przesunięcia w czasie wydatkowania środków i wzrost kosztów projektu związany z inflacją oraz innymi czynnikami niezależnymi od inflacji.

Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów finansowych zostały przedstawione na wykresie 39.

Wykres 39. Częstość występowania istotnych problemów finansowych [N=25]

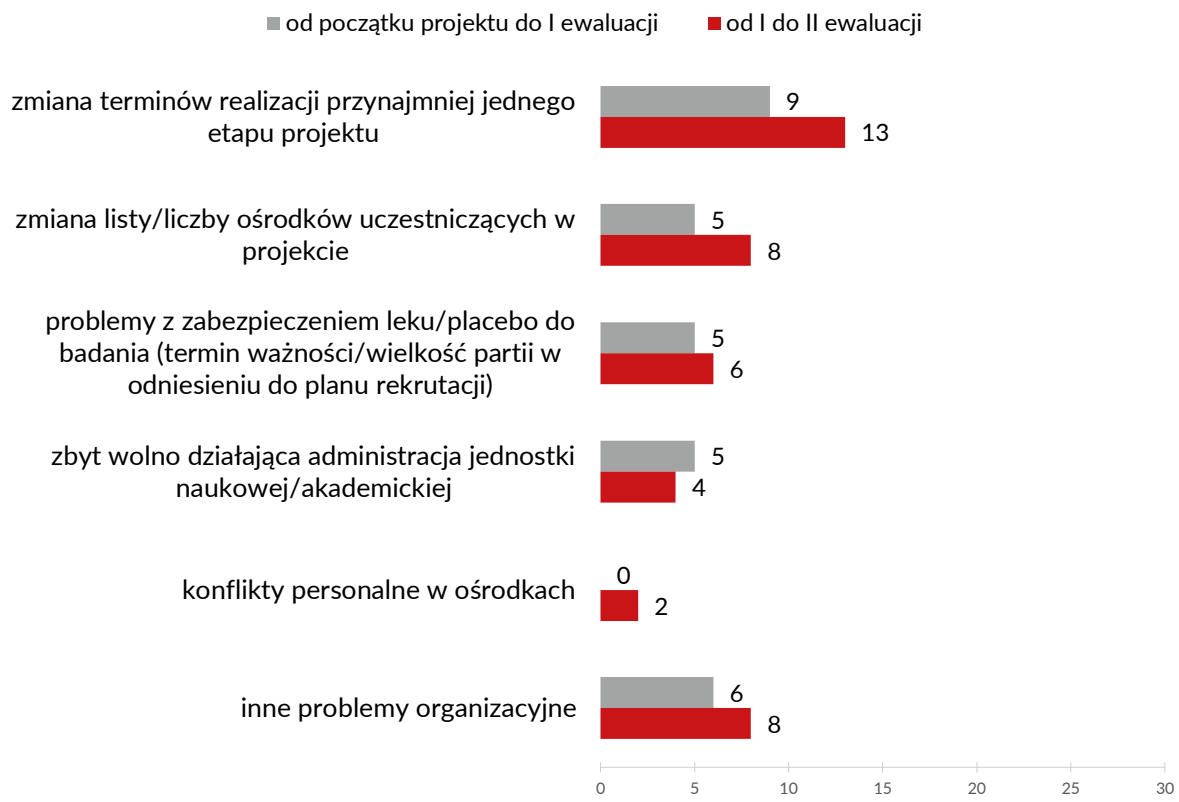


Wśród problemów organizacyjnych na etapie drugiej ewaluacji częściej zgłaszane były problemy związane ze zmianą terminów realizacji przynajmniej jednego etapu projektu oraz zmiany listy / liczby ośrodków uczestniczących w projekcie. Badacze wskazali również inne problemy organizacyjne, które związane były z: rekrutacją pacjentów w ośrodkach zewnętrznych, zmianami konsorcjum, biurokracją oraz bariery administracyjno- prawne związane z zakupem produktu badanego.

W pierwszej ewaluacji badacze częściej wskazywali na problemy związane ze zmianami terminów realizacji przynajmniej jednego etapu projektu.

Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów organizacyjnych zostały przedstawione na wykresie 40.

Wykres 40. Częstość występowania istotnych problemów organizacyjnych [N=25]

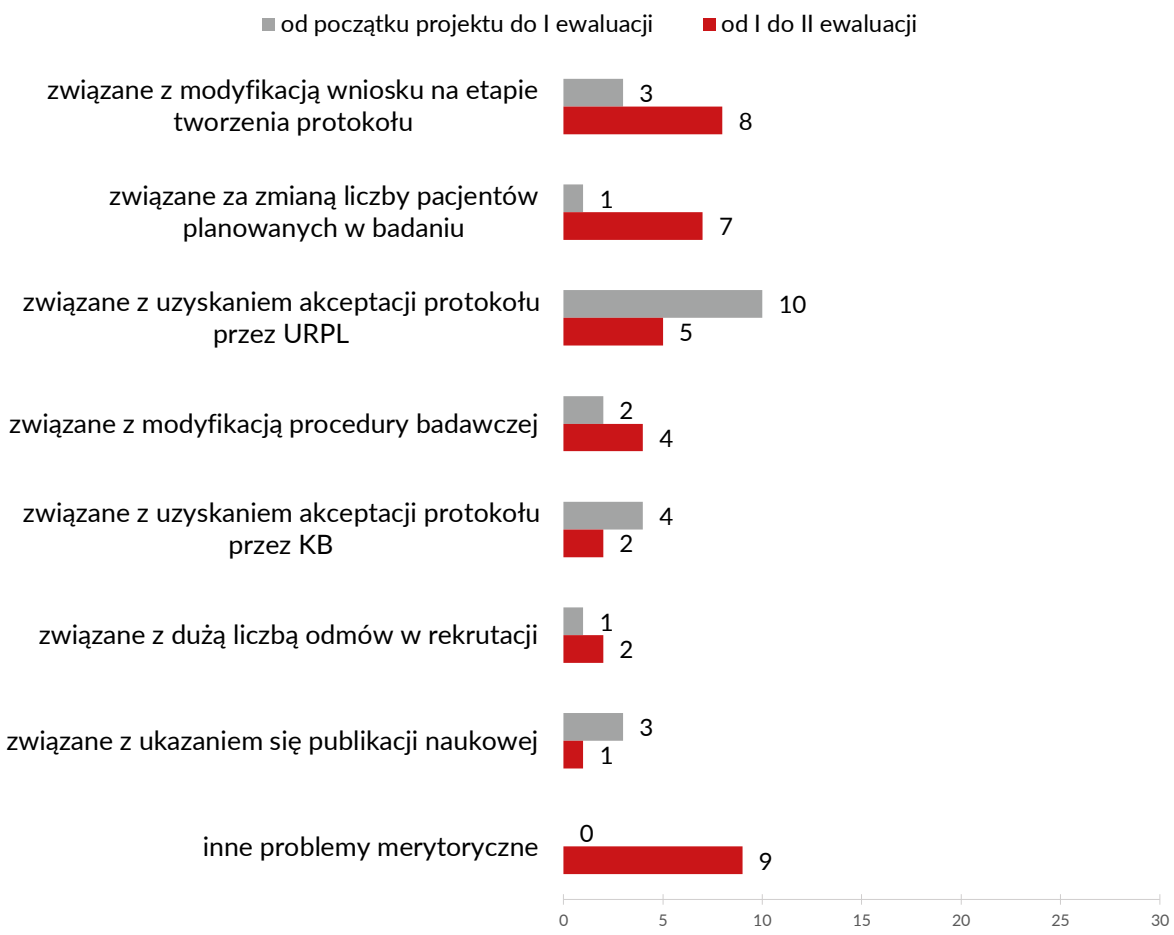


Wśród problemów merytorycznych na etapie drugiej ewaluacji częściej zgłaszane były problemy związane z modyfikacją wniosku na etapie tworzenia protokołu oraz ze zmianą liczby pacjentów planowanych w badaniu. W pierwszej ewaluacji badacze częściej wskazywali na problemy związane z uzyskaniem akceptacji protokołu przez URPL. Jako inne problemy merytoryczne badacze wskazali m.in.: pojawienie się nowych wytycznych, otwarcie programu lekowego i jego wpływ na niską rekrutację pacjentów, trudności z pozyskaniem nowych ośrodków, opóźnienia we wprowadzeniu danych do eCRF, problemy z dostępem do produktu badanego.

Na opóźnienia w realizacji harmonogramu badania przełożyła się bezpośrednio przede wszystkim trudność rekrutacji pacjentów (wskazywana jako powód opóźnień w drugiej ewaluacji).

Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów merytorycznych zostały przedstawione na wykresie 41.

Wykres 41. Częstość występowania istotnych problemów merytorycznych [N=25]



Liczba problemów kadrowych wzrosła w stosunku do pierwszej ewaluacji. Badacze wymieniali tu:

- zmianę charakteru umów z umowy zlecenia/o dzieło na umowę o pracę (lub odwrotnie),
- zmianę liczby etatów osób zatrudnionych w projekcie.
- brak na rynku odpowiedniej klasy specjalistów (prowadzących projekty od strony administracyjnej),

W drugiej ewaluacji badacze sprawozdali również inne problemy kadrowe, do których zaliczono: dużą rotację pracowników, stawki wynagrodzeń odbiegające od cen rynkowych oraz wysokie oczekiwania finansowe specjalistów merytorycznych. Wszystkie wymienione problemy przełożyły się bezpośrednio na opóźnienia w realizacji harmonogramu badania. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów kadrowych zostały przedstawione na wykresie 42.

Wykres 42. Częstość występowania istotnych problemów kadrowych [N=25]



Obie główne kategorie problemów prawnych:

- podpisywanie umów z ośrodkami,
- przedłużające się procedury przetargowe (skomplikowane przepisy Prawa zamówień publicznych)

były częściej wskazywane przez badaczy na etapie pierwszej ewaluacji (choć w drugiej dalej stanowiły istotny problem w realizacji projektów). Badacze wskazali również inne problemy prawne które były związane m.in. z: rozszerzaniem konsorcjum, kontraktowaniem produktu badanego oraz podpisywaniem umów z podmiotami zagranicznymi. Wszystkie wskazane problemy w bardzo istotny sposób wpływały też na opóźnienia w realizacji harmonogramu badań. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów prawnych zostały przedstawione na wykresie 43.

Wykres 43. Częstość występowania istotnych problemów prawnych [N=25]



4.2. Środki zaradcze

Beneficjenci ewaluowanych projektów zostali poproszeni o wskazanie trzech najważniejszych obszarów, w których potencjalne wsparcie mogłoby istotnie wspomóc realizację projektu i które pozwoliłyby na zmniejszenie lub eliminację pojawiających się problemów w przyszłości. Lista potencjalnych form wsparcia przedstawiona w drugiej ewaluacji została dostosowana do aktualnego poziomu zaawansowania projektów. Wykluczono z niej część propozycji wsparcia przedstawionych na etapie pierwszej ewaluacji, np.:

Elementy wskazywane tylko w I ewaluacji (wykluczone w II ewaluacji):

- analiza wykonalności projektu – informacja o możliwych problemach: 8 wskazań
- szkolenie dla twórców protokołów – opracowanie listy zalecanych punktów końcowych: 7 wskazań
- standaryzacja, wzorce umów: 6 wskazań
- internetowy podręcznik pisania wniosku o dofinansowanie projektu: 4 wskazania
- internetowy przewodnik jak przygotować się do kontroli URPL (zalecenia URPL): 4 wskazania
- wsparcie przy przygotowaniu wniosku do URPL: 4 wskazania
- wsparcie w prowadzeniu części administracyjnej, wskazówki jak przeprowadzić dany proces: 4 wskazania
- wsparcie w przeprowadzaniu przetargów: 3 wskazania
- szkolenie z przygotowania badania do oceny przez Centralną Komisję Bioetyczną: 2 wskazania
- listy intencyjne (ułatwiające nawiązanie współpracy na standardowych warunkach): 1 wskazanie
- opis procedury wprowadzania zmian w projekcie finansowanym przez ABM (kolejne kroki): 1 wskazanie
- standaryzacja (ryczałtowe ceny) za procedury: 1 wskazanie

Elementy wskazywane tylko w II ewaluacji (dołączone):

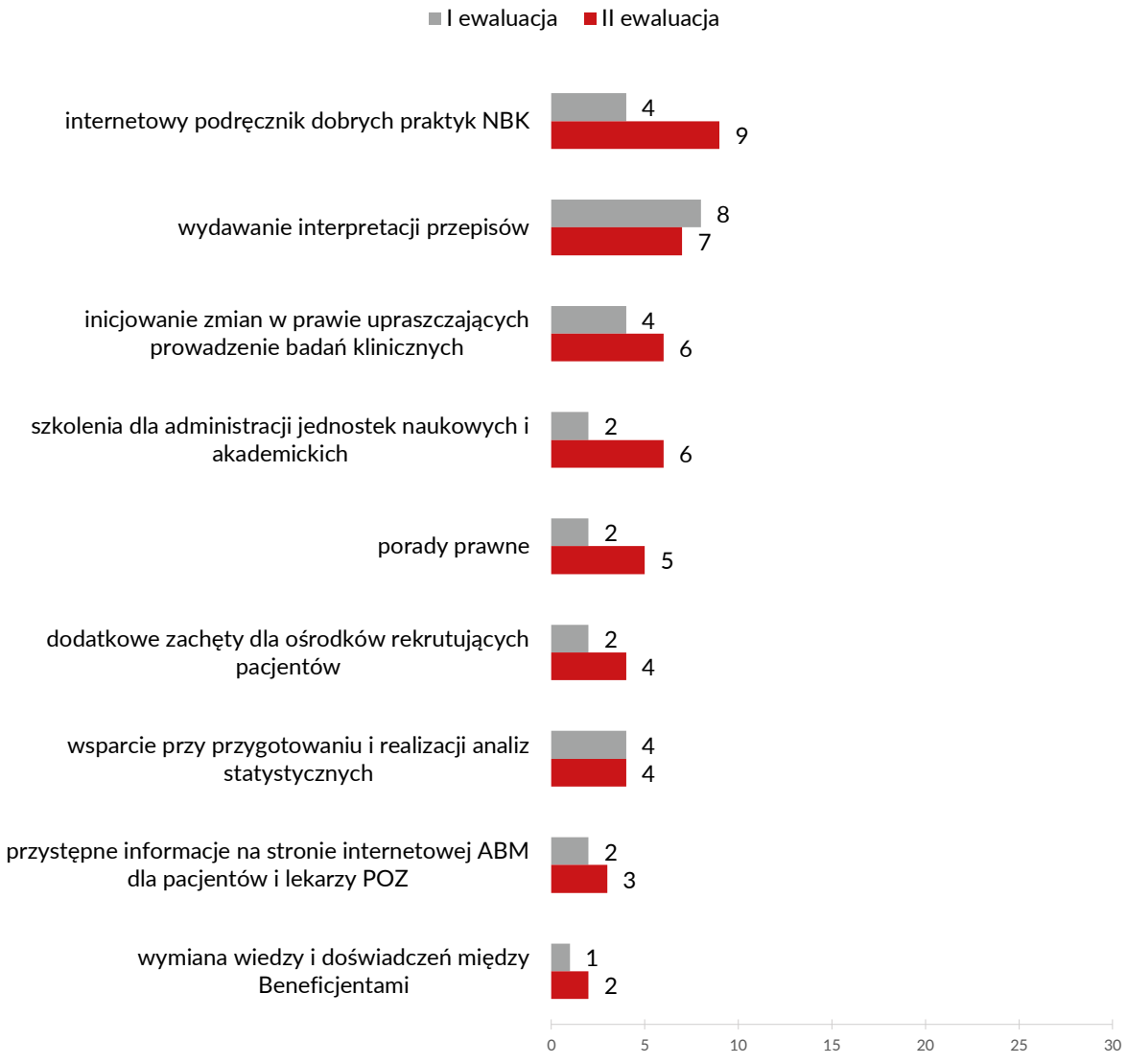
- wsparcie przy współpracy z ośrodkami rekrutującymi pacjentów: 7 wskazań
- informacje jak zabezpieczyć rekrutację do badania (np. internetowe wskazówki/przewodniki): 5 wskazań
- spotkania indywidualne z ABM: 5 wskazań
- szkolenia z zakresu pisania raportu końcowego: 3 wskazania
- analizy statystyczne: 2 wskazania

W trakcie drugiej ewaluacji wśród obszarów potencjalnego wsparcia beneficjenci najczęściej wskazywali:

- internetowy podręcznik dobrych praktyk NBK,
- wydawanie interpretacji przepisów,
- inicjowanie zmian w prawie upraszczających prowadzenie badań klinicznych,
- szkolenia dla administracji jednostek naukowych i akademickich.

Obszary najczęściej wskazywane przez beneficjentów w trakcie drugiej ewaluacji (wraz ze wskazaniami z pierwszej ewaluacji) zostały zaprezentowane na wykresie 44.

Wykres 44. Obszary wsparcia wskazywane przez beneficjentów [N=25]



4.3. Wprowadzone rozwiązania

ABM monitorując realizację finansowanych projektów przygotowuje i podejmuje działania mające na celu usprawnienie ich przebiegu. Wychodząc naprzeciw sygnalizowanym już w pierwszej ewaluacji formatywnej potrzebom, Agencja podjęła szereg działań usprawniających realizację projektów w wielu obszarach. Najważniejsze środki zaradcze, które zostały przedstawione poniżej:

4.3.1. Najważniejsze rozwiązania wprowadzone w 2024 roku

1 Uruchomiono bezpłatny kurs online ICH Good Clinical Practice z certyfikatem TransCelerate BioPharma Inc. oraz przeprowadzono liczne szkolenia z zakresu badań klinicznych, obejmujące m.in. koordynację badań, kontraktowanie, budżetowanie, GCP i zmiany w regulacjach prawnych.

2 Opracowano Katalog Polskiej Sieci Badań Klinicznych (PSBK) z informacjami o ośrodkach i wsparciu dla sponsorów. Stworzono broszury edukacyjne dla pacjentów o placebo, wyszukiwarkach badań i mitach dotyczących badań klinicznych.

3 Zaktualizowano wzory umów badań klinicznych, uwzględniając nowe regulacje i potrzeby rynku. Wprowadzono nowe wzory formularzy świadomej zgody (ICF) z informacjami o ubezpieczeniach i wynikach badań.

4 Wdrożono procedurę postępowania w przypadku zdarzeń niepożądanych oraz uproszczono wnioski o dofinansowanie. Uruchomiono system eCRF ABM do zarządzania badaniami klinicznymi. Wprowadzono nowe funkcjonalności w systemach ABM, umożliwiające współredakcję dokumentów, elektroniczne podpisywanie umów i wymianę korespondencji.

5 Zwiększono możliwość dofinansowania dobrze rokujących projektów oraz limity kosztów pośrednich i wynagrodzeń. Wprowadzono premie za terminową rejestrację i rekrutację pacjentów. Zwolniono wybrane jednostki z obowiązku ustanawiania zabezpieczeń finansowych.

6 Zorganizowano 2 warsztaty, 7 seminariów oraz 9 spotkań informacyjnych skierowanych do beneficjentów i pacjentów. Wydarzenia te miały na celu nie tylko przekazanie rzetelnych informacji, ale także poszerzenie wiedzy uczestników.

4.3.2. Najważniejsze rozwiązania wprowadzone w 2025 roku

1 Uruchomiono nowe narzędzie - Poland Feasibility: Wsparcie dla Sponsorów badań klinicznych. Narzędzie to zostało stworzone z myślą o Sponsorach badań klinicznych – zarówno komercyjnych, jak i niekomercyjnych – aby ułatwić identyfikację odpowiednich ośrodków, które realizują świadczenia zdrowotne dla pacjentów z określonymi jednostkami chorobowymi. Umożliwi to szybsze, bardziej efektywne planowanie i realizację badań. Dzięki precyzyjnym danym, narzędzie to pomoże zoptymalizować proces doboru ośrodków, zmniejszając czas potrzebny na rozpoczęcie badania, a także poprawiając jego jakość i efektywność.

2 Zorganizowano 1 warsztaty, 4 seminaria oraz 2 szkolenia. Opracowano również 2 broszury informacyjne. Działania te miały na celu nie tylko przekazanie rzetelnych informacji, ale także poszerzenie wiedzy uczestników.

5. Spis wykresów

Wykres 1. Zmiany w terminach realizacji projektów (liczone w dniach kalendarzowych – oś X) [N=25] 34
Wykres 2. Zmiany w całkowitym planowanym czasie leczenia pacjentów (liczone w miesiącach – oś X), w poszczególnych projektach [N=25] 36
Wykres 3. Zmiany w planowanej liczbie pacjentów – oś X, w poszczególnych projektach [N=25] 38
Wykres 4. Podstawowe parametry rozkładu czasu oczekiwania (dni kalendarzowe – oś Y) na uzyskanie pozytywnej opinii KB i zgody URPL na realizację badań w projektach [N=25] 39
Wykres 5. Zmiany w planowanej liczbie ośrodków – oś X, w poszczególnych projektach [N=25] 41
Wykres 6. Liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy i w których zrekrutowano pacjentów – oś X, na dzień wypełniania ankiety (włączając ośrodki macierzyste) w projektach [N=25] 43
Wykres 7. Podsumowanie stanu współpracy z ośrodkami w analizowanych projektach [N=25] 44
Wykres 8. Ocena jakości współpracy beneficjentów z ośrodkami badawczymi, w których zrekrutowano pacjentów 45
Wykres 9. Ocena jakości współpracy beneficjentów z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora 46
Wykres 10. Ocena jakości współpracy beneficjentów z CRO 47
Wykres 11. Ocena jakości współpracy beneficjentów z CWBK 48
Wykres 12. Ocena eCRF w analizowanych projektach 49
Wykres 13. Liczba projektów, w których zgłaszane były główne obszary zmian [N=25] 50
Wykres 14. Liczba projektów, w których zgłaszane były zmiany merytoryczne (w protokole badania klinicznego) [N=25] 51
Wykres 15. Poziom rekrutacji pacjentów w projektach na dzień wypełniania ankiety I ewaluacji oraz ankiety II ewaluacji (odniesiony do aktualnej planowanej liczby pacjentów) [N=25] 53
Wykres 16. Ocena stanu rekrutacji projektach 54
Wykres 17. Główne formy rozpowszechniania informacji o badaniu klinicznym [N=25] 56
Wykres 18. Dynamika projektów realizowanych w ramach konkursu NBK 2020 [1/4] 57
Wykres 19. Dynamika projektów realizowanych w ramach konkursu NBK 2020 [2/4] 58
Wykres 20. Dynamika projektów realizowanych w ramach konkursu NBK 2020 [3/4] 59
Wykres 21. Dynamika projektów realizowanych w ramach konkursu NBK 2020 [4/4] 60
Wykres 22. Liczba projektów, w których zgłaszane były zmiany finansowe [N=25] 61
Wykres 23. Zmiany kosztów wynagrodzeń w projektach [N=25] 64
Wykres 24. Zmiany kosztów usług medycznych w projektach [N=25] 65
Wykres 25. Zmiany kosztów leku w projektach [N=25] 66
Wykres 26. Zmiany kosztów zaangażowania CRO w projektach [N=25] 67
Wykres 27. Zmiany kosztów zakupu sprzętu medycznego w projektach [N=25] 68
Wykres 28. Liczba projektów, w których dokonano zmian alokacji środków między kategoriami [N=25] 69
Wykres 29. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [1/7] 69
Wykres 30. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [2/7] 70
Wykres 31. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [3/7] 71
Wykres 32. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [4/7] 72
Wykres 33. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [5/7] 73
Wykres 34. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [6/7] 74
Wykres 35. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach [7/7] 75
Wykres 36. Mediana przepływów finansowych w projektach konkursu [N=25] 76
Wykres 37. Prawdopodobieństwo zakończenia projektów w terminie [N=25] 78
Wykres 38. Częstość występowania istotnych problemów w poszczególnych obszarach [N=25] 81
Wykres 39. Częstość występowania istotnych problemów finansowych [N=25] 82
Wykres 40. Częstość występowania istotnych problemów organizacyjnych [N=25] 83

Wykres 41. Częstość występowania istotnych problemów merytorycznych [N=25] 84
Wykres 42. Częstość występowania istotnych problemów kadrowych [N=25] 85
Wykres 43. Częstość występowania istotnych problemów prawnych [N=25] 86
Wykres 44. Obszary wsparcia wskazywane przez beneficjentów [N=25] 87

6. Załącznik. Ankieta oceny projektu

II EWALUACJA FORMATYWNA KONKURSU NBK 2020

Wsparcie w prowadzeniu projektu

1. Jakie jednostki pozostające lub niebędące w strukturach Sponsora wspomagają/ły prowadzenie projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1} w ostatnich dwóch latach?
Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.

- ☐ jednostki administracyjne w ramach Pana/i jednostki naukowej/medycznej
- ☐ CRO (*proszę o wpisanie nazwy firmy*) _____
- ☐ CWBK
- ☐ inne jednostki (jakie?) _____

2. Jak ocenia Pan/i wsparcie w realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1} zapewniane w ostatnich dwóch latach przez:
Tylko, jeżeli respondent współpracuje/współpracował z daną jednostką.

	1 bardzo niska ocena	2	3	4	5 bardzo wysoka ocena
jednostki administracyjne w ramach Pana/i jednostki naukowej/medycznej	o	o	o	o	o
CRO	o	o	o	o	o
CWBK	o	o	o	o	o
inne jednostki	o	o	o	o	o

3. Jak ocenia Pan/i eCRF przygotowany w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1} przez firmę [nazwa firmy]?
Tylko, jeżeli w projekcie jest już przygotowany eCRF.

- O 1 ocena bardzo niska
- O 2
- O 3
- O 4
- O 5 ocena bardzo wysoka
- O w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1} nie mamy jeszcze przygotowanego eCRF

4. Proszę podać nazwę firmy, która przygotowała eCRF w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1}.
Tylko, jeżeli w projekcie jest już przygotowany eCRF.

- O nazwa firmy _____

Agencja Badań Medycznych,
ul. Chmielna 69, 00-801 Warszawa 1

Współpraca z ośrodkami

5. Jak ocenia Pani/ Pan poziom współpracy z ośrodkami rekrutującymi pacjentów w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1} (poza ośrodkami Sponsora)?

- O 1 ocena bardzo niska
- O 2
- O 3
- O 4
- O 5 ocena bardzo wysoka
- O w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1}nie zaplanowano współpracy z ośrodkami rekrutującymi pacjentów poza ośrodkami Sponsora

Lek i placebo w projekcie

6. Czy do realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1} potrzebny był/jest zakup:

	leku	placebo
tak – lek został zakupiony bezpośrednio od producenta (proszę podać nazwę producenta)	o _____	
tak – lek/placebo został/o zakupiony/e przez hurtownię farmaceutyczną (proszę podać nazwę hurtowni):	o _____	o _____
tak – lek/placebo został/o wytworzony/e na zamówienie (proszę podać nazwę wytwórcy):	o _____	o _____
nie	o	o

7. Czy w trakcie realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1} wystąpiły trudności z zakupem:
Tylko, jeżeli potrzebny był zakup leku/placebo.

	leku	placebo
tak (jakie?)	o _____	o _____
nie	o	o

Informacja o badaniu

8. Jak informacja o realizowanym badaniu jest rozpowszechniana wśród pacjentów lub ich rodzin?
Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi. Lista rotowana.

- ☐ broszury, ulotki
- ☐ badacze prowadzący projekt
- ☐ lekarze (prowadzący) w ośrodkach partnerskich
- ☐ lekarze (prowadzący) w POZ
- ☐ media społecznościowe

- ☐ organizacje pacjenckie
- ☐ strona internetowa jednostki akademickiej/naukowej
- ☐ strona internetowa projektu
- ☐ inny sposób (jaki?) _____
- ☐ informacja o badaniu nie jest rozpowszechniana (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

9. Jaki jest sposób kontaktu z pacjentami w badaniu?
Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.

- ☐ wizyty stacjonarne
- ☐ teleporady
- ☐ inny (jaki?) _____

Rekrutacja pacjentów

10. Proszę wpisać datę zrekrutowania do badania pierwszego pacjenta w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1}.
Tylko, jeżeli zrekrutowano pacjenta/ów do badania i nie ma tej daty w bazie.

- ○ DD-MM-RRRR

11. Ile miesięcy wynosi całkowity planowany czas pracy z jednym pacjentem w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1} (screening + leczenie + monitoring + follow up) liczony od zerowej do ostatniej wizyty?
Proszę wpisać liczbę w przedziale <1;60>.

- ○ liczba miesięcy: _____

12. Jak ocenia Pan/i stan rekrutacji w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1} względem planu?
Możliwość zaznaczenia jednej odpowiedzi.

- ○ niemożliwy do zrealizowania
- ○ wątpliwy do zrealizowania
- ○ do nadrobienia
- ○ zadowalający
- ○ dobry
- ○ doskonały

13. Jakie działania mające na celu ograniczenie opóźnień w rekrutacji pacjentów zostały podjęte w projekcie [TOKEN:ATTRIBUTE_1]?
Możliwość uzupełnienia do 5 odpowiedzi.

- ☐ pierwsze podjęte działanie: _____
- ☐ drugie podjęte działanie: _____
- ☐ trzecie podjęte działanie: _____
- ☐ czwarte podjęte działanie: _____
- ☐ piąte podjęte działanie: _____

- ☐ nie podjęto działań mających na celu ograniczenie opóźnień w rekrutacji (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)
- ☐ dotychczas nie stwierdzono opóźnień w rekrutacji pacjentów (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

Compliance

14. W jaki sposób monitoruje się w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1} przestrzeganie przez pacjentów zaleceń terapeutycznych (compliance/adherencję)? *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ dzienniczki wypełniane przez pacjentów
- ☐ zliczanie opakowań
- ☐ odnotowywanie przez personel medyczny
- ☐ inne (jakie?) _____
- ☐ compliance w projekcie nie jest monitorowany (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

15. W jakiej formie pacjenci wypełniają dzienniczki w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1}? *Tylko, jeżeli respondent wskazał dzienniczki w poprzednim pytaniu.*

- ○ forma papierowa
- ○ forma elektroniczna
- ○ inna forma (jaka?) _____

16. Czy w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1} wdrożono procedurę na wypadek niskiego compliance?

- ○ tak (jakie środki podjęto/zostaną podjęte?) _____
- ○ nie
- ○ nie dotyczy

Bezpieczeństwo

17. Proszę wskazać liczbę poszczególnych zdarzeń, które miały miejsce w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1} do dnia wypełniania ankiety.

	Liczba zdarzeń
ADR - Adverse Drug Reaction (niepożądane działania leku)	_____
AE – Adverse Event (zdarzenia niepożądane)	_____
SAE - Serious Adverse Event (ciężkie zdarzenia niepożądane)	_____
SUSAR – Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction of medicinal product (podejrzewane niespodziewane ciężkie niepożądane działania produktu leczniczego)	_____

Zmiany i problemy w projekcie

18. Jakie zmiany finansowe były zgłaszane w ostatnich dwóch latach realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}? Proszę o zaznaczenie wszystkich pasujących odpowiedzi. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ przesunięcie w czasie wydatkowania środków
- ☐ zmiana alokacji środków między zadaniami
- ☐ zmiana alokacji środków między kategoriami kosztów
- ☐ inne zmiany finansowe (jakie?) _____
- ☐ w ostatnich dwóch latach realizacji projektu nie były zgłaszane żadne zmiany finansowe (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

19. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne problemy finansowe, które wystąpiły w ostatnich dwóch latach realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ przesunięcie w czasie wydatkowania środków
- ☐ zmiana kosztów projektu związana z czynnikami innymi niż inflacja
- ☐ wzrost kosztów projektu związany z inflacją
- ☐ zawyżona/długotrwała wycena procedur przez ośrodki rekrutujące pacjentów
- ☐ związane z organizacją i rozstrzygnięciem przetargów
- ☐ inne problemy finansowe (jakie?) _____
- ☐ w ostatnich dwóch latach realizacji projektu nie wystąpiły żadne istotne problemy finansowe (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

20. Jakie zmiany kadrowe były zgłaszane w ostatnich dwóch latach realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}? Proszę o zaznaczenie wszystkich pasujących odpowiedzi. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ zmiana charakteru umów z umowy zlecenia/o dzieło na umowę o pracę (lub odwrotnie)
- ☐ zmiana liczby etatów/osób zatrudnionych w projekcie
- ☐ inne zmiany kadrowe (jakie?) _____
- ☐ w ostatnich dwóch latach realizacji projektu nie były zgłaszane żadne zmiany kadrowe (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

21. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne problemy kadrowe, które wystąpiły w ostatnich dwóch latach realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ brak na rynku odpowiedniej klasy specjalistów (prowadzących projekty od strony administracyjnej)
- ☐ duża konkurencja między badaczami o dostęp do ośrodków i CRO
- ☐ zmiana charakteru umów z umowy zlecenia/o dzieło na umowę o pracę (lub odwrotnie)
- ☐ zmiana liczby etatów osób zatrudnionych w projekcie
- ☐ inne problemy kadrowe (jakie?) _____

☐ w ostatnich dwóch latach realizacji projektu nie wystąpiły żadne istotne problemy kadrowe (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

22. Jakie zmiany organizacyjne były zgłaszane w ostatnich dwóch latach realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}? Proszę o zaznaczenie wszystkich pasujących odpowiedzi. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

☐ zmiana listy/ liczby ośrodków uczestniczących w projekcie
☐ zmiana terminów realizacji przynajmniej jednego etapu projektu (jaki/e to etap/y?) _____
☐ inne zmiany organizacyjne (jakie?) _____
☐ w ostatnich dwóch latach realizacji projektu nie były zgłaszane żadne zmiany organizacyjne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

23. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne problemy organizacyjne, które wystąpiły w ostatnich dwóch latach realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

☐ problemy z zabezpieczeniem leku/placebo do badania (termin ważności/wielkość partii w odniesieniu do planu rekrutacji)
☐ zbyt wolno działająca administracja jednostki naukowej/akademickiej
☐ zmiana listy/liczby ośrodków uczestniczących w projekcie
☐ zmiana terminów realizacji przynajmniej jednego etapu projektu (jaki/e to etap/y?) _____
☐ konflikty personalne w ośrodkach
☐ inne problemy organizacyjne (jakie?) _____
☐ w ostatnich dwóch latach realizacji projektu nie wystąpiły żadne istotne problemy organizacyjne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

24. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne problemy prawne, które wystąpiły w ostatnich dwóch latach realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

☐ podpisywanie umów z ośrodkami
☐ przedłużające się procedury przetargowe (skomplikowane przepisy Prawa Zamówień Publicznych)
☐ inne problemy prawne (jakie?) _____
☐ w ostatnich dwóch latach realizacji projektu nie wystąpiły żadne istotne problemy prawne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

25. Jakie zmiany merytoryczne były zgłaszane w ostatnich dwóch latach realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}? Proszę o zaznaczenie wszystkich pasujących odpowiedzi. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

☐ zmiany wniosku na etapie tworzenia protokołu badawczego
☐ zmiany związane z uwagami/rekomendacjami Komisji Bioetycznej
☐ zmiany związane z uwagami/rekomendacjami URPL
☐ zmiany związane ze zmianą liczby pacjentów planowanych w badaniu

- ☐ zmiany związane z kryteriami włączenia lub wyłączenia pacjentów do badania/z badania
- ☐ zmiany związane z modyfikacją procedury badawczej (dany element nie działał zgodnie z oczekiwaniami)
- ☐ zmiany związane z ukazaniem się publikacji naukowej, której wyniki powinny być uwzględnione w projekcie
- ☐ inne zmiany merytoryczne (jakie?) _____
- ☐ w ostatnich dwóch latach realizacji projektu nie były zgłaszane żadne zmiany merytoryczne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

26. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne problemy merytoryczne, które wystąpiły w ostatnich dwóch latach realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ związane z modyfikacją wniosku na etapie tworzenia (lub zmian) protokołu badawczego
- ☐ związane z uzyskaniem akceptacji protokołu (lub zmian) przez Komisję Bioetyczną
- ☐ związane z uzyskaniem akceptacji protokołu przez URPL
- ☐ związane z modyfikacją procedury badawczej (dany element nie działał zgodnie z oczekiwaniami)
- ☐ związane z ukazaniem się publikacji naukowej, której wyniki powinny być uwzględnione w projekcie
- ☐ związane za zmianą liczby pacjentów planowanych w badaniu
- ☐ związane z dużą liczbą odmów w rekrutacji
- ☐ inne problemy merytoryczne (jakie?) _____
- ☐ w ostatnich dwóch latach realizacji projektu nie wystąpiły żadne istotne problemy merytoryczne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

27. Jakie inne zmiany były zgłaszane w ostatnich dwóch latach realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}? Proszę o zaznaczenie wszystkich pasujących odpowiedzi. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ inna zmiana 1 (jaka?) _____
- ☐ inna zmiana 2 (jaka?) _____
- ☐ inna zmiana 3 (jaka?) _____
- ☐ w ostatnich dwóch latach realizacji projektu nie były zgłaszane żadne inne zmiany (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

28. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne inne problemy, które wystąpiły w ostatnich dwóch latach realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ zaburzenia związane z COVID19 i funkcjonowaniem służby zdrowia w okresie pandemii
- ☐ inny problem 1 (jaki?) _____
- ☐ inny problem 2 (jaki?) _____
- ☐ inny problem 3 (jaki?) _____

☐ w ostatnich dwóch latach realizacji projektu nie wystąpiły inne istotne problemy (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

Współpraca z ABM

29. Jak ocenia Pan/i jakość współpracy z opiekunem projektu w ABM w ostatnich dwóch latach? *Możliwość zaznaczenia jednej odpowiedzi.*

- O bardzo niska ocena współpracy
- O niska ocena współpracy
- O przeciętna ocena współpracy
- O wysoka ocena współpracy
- O bardzo wysoka ocena współpracy
- O nie wiem/trudno powiedzieć

30. Czy ma Pan/i jakieś uwagi dotyczące współpracy z opiekunem projektu w ABM w ostatnich dwóch latach? Jeśli tak, proszę o wpisanie ich poniżej. *Możliwość wpisania jednej odpowiedzi.*

- O _____
  _____
  _____
  _____
- O nie mam uwag do współpracy w ostatnich dwóch latach z opiekunem projektu w ABM

Potencjalne dodatkowe wsparcie w realizacji projektu

31. Proszę zaznaczyć 3 najważniejsze obszary, w których potencjalne wsparcie mogłoby, Pana/i zdaniem, istotnie wspomóc zakończenie realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}. *Możliwość zaznaczenia do 3 odpowiedzi.*

Internetowe podręczniki/opisy procedur przygotowane przez ABM:

- ☐ internetowy podręcznik dobrych praktyk w niekomercyjnych badaniach klinicznych
- ☐ szkolenia z zakresu pisania raportu końcowego
- ☐ analizy statystyczne

Wsparcie w dalszej realizacji projektu:

- ☐ wsparcie przy przygotowaniu i realizacji analiz statystycznych (np. narzędzia randomizacyjne dla małych grup)
- ☐ wsparcie przy współpracy z ośrodkami rekrutującymi pacjentów

Wsparcie w rekrutacji pacjentów:

- ☐ dodatkowe zachęty dla ośrodków rekrutujących pacjentów (w jakiej formie?) _____
- ☐ informacje jak zabezpieczyć rekrutację do badania (np. internetowe wskazówki/przewodniki)
- ☐ mini-konferencje dla lekarzy
- ☐ przystępne informacje na stronie internetowej ABM dla pacjentów i lekarzy POZ (opis choroby, osoby kontaktowe, terminy)

Wsparcie prawne

- ☐ porady prawne
- ☐ wydawanie interpretacji przepisów
- ☐ wsparcie instytucji odwoławczej rozstrzygającej spory z partnerami, ośrodkami
- ☐ inicjowanie zmian w prawie upraszczających prowadzenie badań klinicznych

Wsparcie dla administracji

- ☐ szkolenia dla administracji jednostek naukowych i akademickich

Spotkania, kontakty

- ☐ spotkania indywidualne z ABM (jak często?) _____
- ☐ wymiana wiedzy i doświadczeń między Beneficjentami

Inne formy wsparcia

- ☐ inna forma wsparcia 1 (jaka?) _____
- ☐ inna forma wsparcia 2 (jaka?) _____
- ☐ inna forma wsparcia 3 (jaka?) _____
- ☐ dodatkowe wsparcie w realizacji projektu nie jest potrzebne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

Efekty projektu

32. Proszę o przedstawienie liczb obrazujących efekty naukowe projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1}.

	Liczba
doniesień na konferencjach ogólnopolskich zaprezentowanych do dnia wypełniania ankiety	_____
doniesień na konferencjach międzynarodowych zaprezentowanych do dnia wypełniania ankiety	_____
publikacji wydanych do dnia wypełniania ankiety	_____
przygotowanych już publikacji planowanych do wydania po dniu wypełniania ankiety	_____

33. Proszę o wpisanie dla każdej publikacji w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1} wydanej do dnia wypełnienia ankiety:

- ☐ tytułu publikacji _____
- ☐ tytułu czasopisma, w którym nastąpiła publikacja _____
- ☐ IF czasopisma, w którym nastąpiła publikacja _____
- ☐ nazwisko Głównego Badacza jest wymienione wśród autorów publikacji
- ☐ publikacja posiada afiliację ABM

34. Jaka jest przewidywana forma wykorzystania wyników badania klinicznego {TOKEN:ATTRIBUTE_1}? *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ poszerzenie wiedzy
- ☐ aktualizacja standardów postępowań klinicznych (procedur)

- ☐ wskazanie nowej opcji terapeutycznej
- ☐ inne (jakie?) _____

35. Proszę o ocenę prawdopodobieństwa ukończenia projektu [TOKEN:ATTRIBUTE_1] w terminie zgodnym z aktualnym Wnioskiem o Dofinansowanie. *Do oceny proszę posłużyć się skalą od 0 do 100%.*

- O _____

36. Proszę określić, o jaki minimalny czas powinien być wydłużony projekt {TOKEN:ATTRIBUTE_1}, aby udało się go ukończyć.

- O 3 miesiące
- O 6 miesięcy
- O 9 miesięcy
- O 12 miesięcy
- O 18 miesięcy
- O 24 miesiące
- O projekt nie wymaga wydłużania, zostanie ukończony w terminie

Jeśli chcieliby Państwo uzasadnić odpowiedź, można skorzystać z pola poniżej:

_____
_____
_____
_____

37. Czy ma Pan/i dodatkowe uwagi do realizacji projektu {TOKEN:ATTRIBUTE_1} lub samej ankiety? Jeśli tak, prosimy zamieścić je poniżej.

- O _____
_____
_____

To już wszystkie pytania. Bardzo dziękujemy za poświęcony czas i wypełnienie ankiety.
Zespół ABM ds. II Ewaluacji Formatywnej Konkursu NBK 2020